



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/684724/2012
EMA/H/C/002208

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Krystexxa peglotikáza

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Krystexxa. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Krystexxa.

Čo je liek Krystexxa?

Liek Krystexxa obsahuje účinnú látku peglotikázu. Je dostupný ako koncentrát, z ktorého sa pripraví infúzny roztok (na kvapkanie do žily).

Na čo sa liek Krystexxa používa?

Liek Krystexxa sa používa na liečbu dospelých pacientov so závažnou chronickou (dlhodobou) uzlovitou dnou. Toto ochorenie vzniká vtedy, keď sa v krvi tvorí veľké množstvo kyseliny močovej, ktorá potom kryštalizuje v kĺboch a tkanivách, pričom sa vytvárajú uzly (kamene), ktoré spôsobujú bolesť a poškodenie kĺbov. Liek Krystexxa sa používa len u pacientov, ktorí nedokážu kontrolovať hladinu kyseliny močovej ani pri maximálnych dávkach konvenčných liekov nazývaných inhibítory xantínoxidázy alebo ktorí nemôžu užívať tieto lieky.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Krystexxa používa?

Liek Krystexxa sa má podávať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou závažnej chronickej dny, a v prostredí, v ktorom sú k dispozícii resuscitačné zariadenia.

Liek Krystexxa sa podáva ako infúzia do žily každé dva týždne v odporúčanej dávke 8 mg. Infúzia sa podáva pomaly aspoň 2 hodiny. Všetci pacienti sa počas infúzie a aspoň jednu hodinu po nej



monitorujú, či sa u nich nevyskytnú akékoľvek reakcie. Na zníženie rizika výskytu týchto reakcií sa pacientom pred liečbou liekom Krystexxa podávajú iné lieky.

Reakcie sú častejšie u pacientov, u ktorých sa vytvorili protilátky (bielkoviny tvorené imunitným systémom, prirodzenou obranou organizmu), ktoré znižujú účinky liečby. Pred každou infúziou sa teda odmeria hladina kyseliny močovej a lekár má pokračovať v liečbe liekom Krystexxa len vtedy, keď pacientovi naďalej prospieva, teda keď je hladina kyseliny močovej v krvi pod hranicou 6 mg/dl. Pacienti počas liečby liekom Krystexxa nemajú užívať iné lieky, ktoré znižujú hladinu kyseliny močovej, aby bolo možné jednoznačne posúdiť účinky lieku Krystexxa.

Ďalšie informácie o používaní lieku Krystexxa nájdete v písomnej informácii pre používateľov.

Akým spôsobom liek Krystexxa účinkuje?

Účinná látka lieku Krystexxa peglotikáza obsahuje enzým nazývaný urikáza. Urikáza rozkladá kyselinu močovú na inú látku alantoín, ktorá sa môže odstraňovať z tela močom. Tým sa znižuje hladina kyseliny močovej v krvi. Keď hladina kyseliny močovej klesne pod 6 mg/dl, kryštály v kĺboch sa môžu rozpustiť, čím sa pomaly zmenšia uzly.

Urikáza v lieku Krystexxa sa vyrába tzv. technológiou rekombinantnej DNA: vyrába ju baktéria, do ktorej bol pridaný gén (DNA), ktorý jej umožňuje tvoriť urikázu. V lieku Krystexxa je urikáza pripojená k chemickej látke polyetylénglykolu (PEG), ktorá znižuje rýchlosť odstraňovania urikázy z tela, čím umožňuje jej dlhšie pôsobenie.

Ako bol liek Krystexxa skúmaný?

Účinok lieku Krystexxa sa najprv skúmal na pokusných modeloch a potom na ľuďoch.

Liek Krystexxa sa skúmal v dvoch hlavných štúdiách zahŕňajúcich 225 pacientov so závažnou uzlovitou dnou, u ktorých predtým nebola účinná liečba inhibítorom xantínoxidázy alopurinolom na kontrolu hladiny kyseliny močovej alebo u ktorých sa táto liečba nemohla použiť z dôvodu vedľajších účinkov. Liek Krystexxa podávaný v dávke 8 mg každé dva alebo štyri týždne sa porovnával s placebom (zdanlivým liekom) počas obdobia šiestich mesiacov. Hlavným meradlom účinnosti bol počet pacientov, u ktorých sa prejavila trvalá reakcia na liečbu definovaná ako hladina kyseliny močovej v krvi pod úrovňou 6 mg/dl počas aspoň 80 % času v priebehu tretieho a šiesteho mesiaca štúdie.

Aký prínos preukázal liek Krystexxa v týchto štúdiách?

Preukázalo sa, že liek Krystexxa je účinnejší pri znižovaní hladiny kyseliny močovej ako placebo. Hoci liek Krystexxa rýchlo znížil hladinu kyseliny močovej, u viac než polovice pacientov sa jeho účinok v priebehu niekoľkých týždňov oslabil. Celkovo sa u 42 % pacientov (36 z 85), ktorým sa podával liek každé dva týždne, prejavila trvalá reakcia. V prípade pacientov, ktorým sa liek Krystexxa podával každé štyri týždne, to bolo 35 % (29 z 84). Placebo nebolo účinné u žiadneho pacienta. Liek Krystexxa podávaný každé dva týždne spôsobil menej reakcií na infúziu ako liek podávaný každé štyri týždne.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Krystexxa?

Najčastejšie závažné vedľajšie účinky lieku Krystexxa sú anafylaxia (závažná alergická reakcia), ktorá sa pozorovala u približne 7 pacientov zo 100, reakcie na infúziu (vrátane návalov horúčavy, kožných vyrážok, svrbenia, potenia, bolesti hrudníka, ťažkosti s dýchaním, triašky a zvýšeného krvného tlaku),

ktoré sa pozorovali u približne 26 pacientov zo 100, a epizódy dny (zhoršenie symptómov dny), ktoré boli častejšie v prvých 3 mesiacoch liečby.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Krystexxa sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Liek Krystexxa nesmú užívať osoby, ktoré sú precitlivené (alergické) na peglotikázu alebo na inú zložku lieku, ani osoby so zriedkavým ochorením krvi nazývaným deficiencia glukóza-6-fosfátdehydrogenázy (G6PD) (favizmus) alebo podobnými ochoreniami.

Prečo bol liek Krystexxa povolený?

Výbor CHMP usúdil, že liek Krystexxa bol mimoriadne účinný pri znižovaní hladiny kyseliny močovej. Hoci sa môžu vyskytnúť závažné vedľajšie účinky (napríklad reakcie na infúziu alebo epizódy dny), považujú sa za zvládnuteľné. Pokiaľ ide o pacientov s ťažkou formou ochorenia, ktorých nemožno účinne liečiť konvenčnými metódami, výbor usúdil, že liek Krystexxa rieši neuspokojenú potrebu, pretože nie sú dostupné žiadne alternatívne lieky. Výbor CHMP preto rozhodol, že prínos lieku Krystexxa je väčší než riziká spojené s jeho používaním, a odporučil udeliť povolenie na uvedenie lieku na trh.

Aké opatrenia sú nutné na bezpečné používanie lieku Krystexxa?

Spoločnosť, ktorá vyrába liek Krystexxa, uskutoční štúdiu zameranú na dlhodobú bezpečnosť lieku vrátane jeho bezpečnosti a účinnosti u pacientov, u ktorých sa zastavila liečba a neskôr sa znova obnovila.

Ďalšie informácie o lieku Krystexxa

Dňa 8. januára 2013 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Krystexxa na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Krystexxa sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Krystexxa, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 01-2013