



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/741937/2015
EMA/H/C/000477

Resumen del EPAR para el público general

Aldurazyme

Iaronidasas

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Aldurazyme. En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización y unas recomendaciones sobre las condiciones de su uso.

¿Qué es Aldurazyme?

Aldurazyme es una solución para perfusión (administración intravenosa) que contiene el principio activo Iaronidasas.

¿Para qué se utiliza Aldurazyme?

Aldurazyme se usa en pacientes con diagnóstico confirmado de mucopolisacaridosis de tipo I (MPS I), enfermedad causada por el déficit de α -L-iduronidasas, para tratar los síntomas no neurológicos de la enfermedad (síntomas que no están conectados con el cerebro ni con los nervios). MPS I es una enfermedad hereditaria rara en la que el nivel de actividad de la enzima α -L-iduronidasas es muy inferior al normal. Esto significa que las sustancias llamadas glicosaminoglicanos (GAG) no se descomponen, por lo que se infiltran en la mayoría de los órganos del cuerpo y terminan por dañarlos. Los síntomas no neurológicos de la enfermedad MPS I pueden ser el aumento del tamaño del hígado, rigidez de las articulaciones que dificulta el movimiento, volumen pulmonar reducido, enfermedad cardíaca y enfermedad ocular.

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.

¿Cómo se usa Aldurazyme?

El tratamiento con Aldurazyme deberá ser supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con MPS I y otras enfermedades metabólicas hereditarias. Aldurazyme deberá administrarse en un hospital o clínica que disponga de equipo de reanimación y los pacientes podrían



necesitar algunos medicamentos antes de la perfusión para impedir una reacción alérgica. Aldurazyme se administra una vez a la semana como perfusión intravenosa. Es un medicamento destinado a un uso prolongado.

¿Cómo actúa Aldurazyme?

El principio activo de Aldurazyme, la laronidasa, es una copia de la enzima humana α -L-iduronidasa. Se recurre a un método denominado «tecnología del ADN recombinante», donde la enzima es producida por células que han recibido un gen (ADN) que las capacita para producir laronidasa. La laronidasa se utiliza como «terapia de sustitución enzimática», lo que significa que sustituye la enzima ausente en los pacientes afectados por MPS I. Al sustituir la enzima que falta se controlan los síntomas de la enfermedad, lo que mejora la calidad de vida del paciente.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Aldurazyme?

Aldurazyme ha sido comparado con placebo (tratamiento ficticio) en 45 pacientes mayores de 6 años con un diagnóstico confirmado de MPS I. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la función pulmonar (capacidad vital forzada, CVF) y la distancia que podían recorrer los pacientes durante seis minutos. Las mediciones se efectuaron antes y después de 26 semanas de tratamiento. Posteriormente, el estudio continuó durante cuatro años y todos los pacientes fueron tratados con Aldurazyme.

Aldurazyme también ha sido estudiado en 20 niños menores de cinco años, que recibieron Aldurazyme durante un año. El estudio evaluó principalmente la seguridad del medicamento, aunque también midió su capacidad de reducir los niveles de glicosaminoglicanos en la orina y el tamaño del hígado.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Aldurazyme durante los estudios?

El estudio demostró que Aldurazyme había mejorado tanto la capacidad vital forzada como la capacidad de caminar de los pacientes a las 26 semanas. Este efecto se mantuvo hasta cuatro años.

En niños menores de cinco años, Aldurazyme redujo los niveles de glicosaminoglicanos en la orina en aproximadamente el 60 %. La mitad de los niños tratados presentaban un hígado de tamaño normal al final del estudio.

¿Cuál es el riesgo asociado a Aldurazyme?

Los efectos adversos más frecuentes de Aldurazyme son reacciones causadas por la perfusión más que por el propio medicamento. Algunos de estos efectos pueden ser graves, pero el número de efectos adversos tiende a disminuir con el tiempo. Los efectos adversos más frecuentes de Aldurazyme en pacientes mayores de cinco años (observados en más de 1 paciente de cada 10) son dolor de cabeza, náuseas, dolor abdominal, erupción cutánea, artropatía (lesiones en las articulaciones), artralgia (dolor de las articulaciones), dolor de espalda, dolor en las extremidades (manos y pies), sofocos, pirexia (fiebre) y reacciones en la zona de la perfusión. En pacientes menores de cinco años, los efectos adversos más comunes (observados en más de 1 paciente de cada 10) son aumento de la tensión arterial, disminución de la saturación de oxígeno (una medida de la función pulmonar), taquicardia (ritmo cardíaco rápido), fiebre y escalofríos. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Aldurazyme, ver el prospecto.

Casi todos los pacientes que reciben Aldurazyme desarrollan anticuerpos (proteínas producidas como respuesta a Aldurazyme). Todavía no se conoce plenamente qué efectos pueden tener sobre la seguridad y la eficacia del medicamento.

Aldurazyme no se debe utilizar en personas que presenten una alergia aguda a la laronidasa o a cualquier otro componente del medicamento.

¿Por qué se ha aprobado Aldurazyme?

El CHMP concluyó que Aldurazyme ofrece un control efectivo de los síntomas de MPS I. El Comité decidió que los beneficios de Aldurazyme son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización.

En un principio, Aldurazyme se autorizó en «circunstancias excepcionales» ya que, por tratarse de una enfermedad rara, se disponía de información limitada en el momento de su autorización. Sin embargo, dichas «circunstancias excepcionales» dejaron de ser aplicables el 16 de diciembre de 2015, una vez que la empresa presentó la información complementaria que se le había solicitado.

Otras informaciones sobre Aldurazyme

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Aldurazyme el 10 de junio de 2003.

El EPAR completo de Aldurazyme puede consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Para mayor información sobre el tratamiento con Aldurazyme, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 11-2015.