



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/763262/2010  
EMA/H/C/000640

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Naglazyme

## galsulfase

En el presente documento se resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Naglazyme. 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 Naglazyme?

Naglazyme es una solución para perfusión (goteo en vena) que contiene el principio activo galsulfase (1mg/ml).

### ¿Para qué se utiliza Naglazyme ?

Naglazyme se utiliza para tratar a pacientes con mucopolisacaridosis VI (MPS VI o síndrome de Maroteaux-Lamy), una enfermedad provocada por la falta de una enzima (la N-acetylgalactosamina 4-sulfatasa) que se necesita para descomponer unas sustancias presentes en el organismo conocidas como glicosaminoglicanos (GAG). Sin esta enzima, los GAG no se pueden descomponer y se acumulan en las células, lo que provoca los signos de la enfermedad (los más evidentes son baja estatura, cabeza grande y dificultades para moverse). La enfermedad se diagnostica normalmente en niños de uno a cinco años.

Dado el escaso número de personas que padecen la MPS I, la enfermedad se considera «rara», por lo que Naglazyme fue designado «medicamento huérfano» (utilizado en enfermedades raras) el 14 de febrero de 2001.

**Este medicamento sólo podrá dispensarse con receta médica.**



## ¿Cómo se usa Naglazyme?

El tratamiento con Naglazyme deberá ser supervisado por un médico con experiencia en la atención a pacientes con MPS VI y otras enfermedades similares. Debe administrarse en un lugar en el que se disponga de equipo de reanimación para urgencias.

Naglazyme se administra en perfusión de cuatro horas de duración una vez por semana. La dosis recomendada es de 1 mg por kilo de peso corporal. Antes de cada perfusión, deberá administrarse al paciente un antihistamínico para reducir el riesgo de reacción alérgica. También se les puede dar un medicamento para evitar la fiebre.

## ¿Cómo actúa Naglazyme?

Naglazyme es un tratamiento enzimático sustitutivo que aporta al paciente la enzima que le falta. El principio activo de Naglazyme, galsufase, es una copia de la enzima humana N-acetylgalactosamina 4-sulfatasa. Naglazyme ayuda a descomponer los GAG e impedir su acumulación en las células, lo cual puede mejorar los síntomas de MPS VI, incluida la capacidad de los pacientes para moverse.

La galsulfasa se obtiene mediante un método conocido como «tecnología del ADN recombinante»: la enzima es producida por una célula humana que ha recibido un gen (ADN) que la hace capaz de fabricarla.

## ¿Qué tipo de estudios se han realizado con Naglazyme?

Naglazyme se comparó con un placebo (un tratamiento ficticio) en un estudio principal en el que participaron 39 pacientes con MPS VI de una edad comprendida entre los 5 y los 29 años. El principal criterio de valoración de la eficacia fue la distancia que pudieron recorrer andando los pacientes después de 24 semanas de tratamiento.

## ¿Qué beneficio ha demostrado tener Naglazyme durante los estudios?

*Naglazyme fue más eficaz que el placebo.* Después de 24 semanas, la distancia media que recorrieron los pacientes tratados con Naglazyme en 12 minutos aumentó en 109 metros, frente a los 18 metros de aquellos que recibieron placebo.

## ¿Cuál es el riesgo asociado a Naglazyme?

Los efectos secundarios más presentes en los estudios con Naglazyme (observados en más de un paciente de cada diez) fueron el dolor de oído, disnea (dificultad para respirar), dolor abdominal y dolor generalizado. Los pacientes pueden registrar también reacciones a la infusión (como fiebre, temblores, erupciones y picor). La lista completa de efectos secundarios comunicados sobre Naglazyme puede consultarse en el prospecto.

Naglazyme no debe usarse en personas hipersensibles (alérgicas) a la galsulfasa o a cualquiera de los demás componentes del medicamento.

## ¿Por qué se ha aprobado Naglazyme?

El CHMP decidió que los beneficios de Naglazyme son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización.

El Comité constató que, aunque en el estudio principal de Naglazyme no participaron niños menores de cinco años, es importante tratarlos si padecen una forma grave de MPS VI.

Naglazyme ha sido autorizado en «circunstancias excepcionales», lo que significa que, dado que la enfermedad es rara, no ha sido posible obtener información completa sobre el medicamento. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos revisará toda la nueva información que se le facilite y el presente resumen se actualizará conforme sea necesario.

## **¿Qué información falta todavía sobre Naglazyme?**

La empresa que fabrica Naglazyme realiza estudios para examinar la seguridad y eficacia a largo plazo en mujeres embarazadas o que amamantan y en niños menores de 5 años, a fin de controlar si desarrollan anticuerpos (proteínas producidas en el organismo en respuesta a Naglazyme que puedan afectar a la respuesta al tratamiento) y observar cuáles son sus efectos secundarios. La empresa también llevará a cabo estudios para determinar la dosis óptima para tratamientos periódicos de larga duración,

## **Otras informaciones sobre Naglazyme**

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Naglazyme a Biomarin Europe Limited el 24 de enero de 2006. La autorización de comercialización tiene validez ilimitada.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Naglazyme puede consultarse en el sitio web de la Agencia en [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

El texto completo del EPAR de Naglazyme puede encontrarse en el sitio web de la Agencia en [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Para más información sobre el tratamiento con Naglazyme, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El presente resumen se actualiza en diciembre de 2010.