



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/529536/2016
EMA/H/C/000700

Resumen del EPAR para el público general

Elaprase

idursulfasa

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

¿Qué es Elaprase?

Elaprase es un medicamento que contiene el principio activo idursulfasa. Está disponible en forma de concentrado con el que se prepara una solución para perfusión (goteo en vena).

¿Para qué se utiliza Elaprase?

Elaprase está indicado para el tratamiento de pacientes con síndrome de Hunter y está destinado a un uso prolongado.

El síndrome de Hunter, también conocido como mucopolisacaridosis II, es una enfermedad hereditaria rara, que afecta sobre todo a los varones. Los pacientes con síndrome de Hunter no producen una enzima, el iduronato-2-sulfatasa, que se necesita para descomponer unas sustancias del organismo llamadas glucosaminoglicanos (GAG). Como los pacientes con síndrome de Hunter no pueden descomponer estas sustancias, los GAG se van acumulando en la mayoría de órganos del cuerpo y los dañan. Esto provoca una amplia serie de síntomas, en particular dificultad para respirar y caminar. Si no se tratan, estos síntomas empeoran con el tiempo.

Dado el escaso número de pacientes que sufren el síndrome de Hunter, la enfermedad se considera «rara», y Elaprase fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en casos de enfermedades raras) el 11 de diciembre de 2001.

Este medicamento solo podrá dispensarse con receta médica.



¿Cómo se usa Elaprased?

El tratamiento con Elaprased deberá estar supervisado por un médico o una enfermera con experiencia en el tratamiento de pacientes afectados por el síndrome de Hunter u otras enfermedades hereditarias que afectan al metabolismo.

Elaprased se administra semanalmente, mediante perfusión en vena, en una dosis de 0,5 mg por kilogramo de peso corporal. La perfusión debe durar tres horas. No obstante, mientras el paciente no desarrolle reacciones a la perfusión (picor, erupción, fiebre, dolor de cabeza, aumento de la presión sanguínea o enrojecimiento (de la cara)) su duración podrá reducirse gradualmente a una hora.

Los pacientes que toleren bien la perfusión durante varios meses en una clínica estarán en condiciones de recibirla en su propio hogar. Sin embargo, la perfusión en el hogar debería ser supervisada por un médico o enfermera.

¿Cómo actúa Elaprased?

El principio activo de Elaprased, la idursulfasa, es una copia de la enzima humana iduronato-2-sulfatasa. Sustituye la enzima que falta o es defectuosa en pacientes con el síndrome de Hunter. El aporte de la enzima contribuirá a descomponer los glucosaminoglicanos (GAG) y a impedir que sigan formándose en el tejido corporal, contribuyendo así a aliviar los síntomas de la enfermedad.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Elaprased?

En el estudio principal con Elaprased participaron 96 pacientes varones de entre 5 y 31 años, y se comparó su eficacia con la de un placebo (tratamiento ficticio). Los criterios principales de valoración de la eficacia fueron la función pulmonar («capacidad vital forzada», la cantidad máxima de aire que el paciente puede exhalar), y la distancia que los pacientes recorrían en seis minutos, lo cual medía los efectos combinados de la enfermedad sobre el corazón, los pulmones, las articulaciones y otros órganos. Estas mediciones se realizaron al inicio del estudio y al cabo de/tras un año de tratamiento.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Elaprased durante los estudios?

Elaprased mejoró la función pulmonar y la capacidad para caminar de los pacientes. Al empezar el estudio, los pacientes podían caminar un promedio de 395 metros en seis minutos. Transcurrido un año de tratamiento, los pacientes que recibían Elaprased podían recorrer una media de 43 metros más en seis minutos, mientras que los pacientes que recibieron placebo podían recorrer 8 metros más. El medicamento mejoró asimismo la función pulmonar, mientras que los pacientes que recibieron placebo experimentaron un ligero empeoramiento.

¿Cuál es el riesgo asociado a Elaprased?

Los efectos adversos más habituales con Elaprased guardan relación con la perfusión, incluidas reacciones cutáneas (erupción cutánea o picor), fiebre, dolor de cabeza, elevada presión sanguínea y enrojecimiento. Otros efectos adversos observados en más de un paciente de cada diez son sibilancia, disnea (dificultad para respirar), dolor abdominal, náusea, dispepsia (ardor de estómago), diarrea, vómitos, hinchazón en el lugar de la perfusión y dolor en el pecho. Algunos pacientes tratados con Elaprased han sufrido reacciones alérgicas graves. La lista completa de efectos adversos comunicados sobre Elaprased puede consultarse en el prospecto.

Elaprased no debe administrarse a pacientes que hayan sufrido una reacción de hipersensibilidad (alérgica) que haya puesto en riesgo su vida ante la idursulfasa o cualquiera de los demás

componentes, si su alergia no es controlable. Si se administra a pacientes que hayan tenido reacciones alérgicas en el pasado, Elaprase deberá utilizarse con precaución y durante la perfusión deberá estar presente personal entrenado con un equipo para reanimación de emergencia.

¿Por qué se ha aprobado Elaprase?

El CHMP concluyó que las mejoras demostradas en el estudio, aunque limitadas, representan un beneficio clínico en el tratamiento del síndrome de Hunter. El Comité decidió que los beneficios de Elaprase son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización.

Elaprase ha sido autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto significa que, dado que el síndrome de Hunter es una enfermedad rara, no ha sido posible obtener información completa sobre Elaprase. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará la nueva información disponible y actualizará cuando proceda el presente resumen.

¿Qué información falta todavía sobre Elaprase?

La empresa que comercializa Elaprase investigará los efectos a largo plazo del medicamento, en particular en los pulmones, el corazón y los vasos sanguíneos, y si el organismo produce anticuerpos que pueden afectar a la seguridad y la eficacia del medicamento.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Elaprase?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Elaprase se han incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto.

Otras informaciones sobre Elaprase

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Elaprase el 8 de enero de 2007.

El EPAR completo de Elaprase puede consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para más información sobre el tratamiento con Elaprase, lea el prospecto (que también forma parte del EPAR) o consulte con su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Elaprase puede consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 09-2016