

RAPORT EUROPEAN PUBLIC DE EVALUARE (EPAR)**FABRAZYME****Rezumat EPAR destinat publicului**

Prezentul document este un rezumat al Raportului european public de evaluare (EPAR). Documentul explică modul în care Comitetul pentru produse medicamentoase de uz uman (CHMP) a evaluat studiile efectuate pentru a emite recomandările privind modul de utilizare a medicamentului.

Dacă aveți nevoie de informații suplimentare privind starea dumneavoastră de sănătate sau tratamentul dumneavoastră, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului. Dacă doriți informații suplimentare pe baza recomandărilor CHMP, citiți Dezbaterea științifică (care face parte, de asemenea, din EPAR).

Ce este Fabrazyme?

Fabrazyme este o soluție perfuzabilă (picurare în venă) care conține substanța activă agalsidază beta.

Pentru ce se utilizează Fabrazyme?

Fabrazyme se utilizează în tratarea pacienților cu boala Fabry, o afecțiune ereditară rară. Pacienții cu boala Fabry prezintă un deficit de enzimă alfa-galactozidaza A. În mod normal, această enzimă descompune o substanță lipidică denumită globotriaozilceramidă (GL-3). Dacă enzima nu este prezentă, GL-3 nu poate fi descompusă și se acumulează în celulele organismului, ca de exemplu în celulele renale.

Persoanele cu boala Fabry pot prezenta o gamă largă de semne și simptome, inclusiv afecțiuni severe cum ar fi insuficiență renală, probleme cardiace și accidente vasculare cerebrale.

Deoarece numărul pacienților cu boala Fabry este scăzut, boala este considerată „rară”, iar Fabrazyme a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rar întâlnite) la 8 august 2000.

Medicamentul se poate elibera numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Fabrazyme?

Fabrazyme trebuie administrat numai de către un medic care are experiență în tratarea pacienților cu boala Fabry sau cu alte boli metabolice ereditare. Se utilizează sub formă de perfuzie intravenoasă în doză de 1 mg per kilogram de greutate corporală, administrată o dată la două săptămâni. Inițial ritmul perfuziei ar trebui să nu depășească 0,25 mg pe minut (15 mg pe oră) pentru a reduce riscul apariției efectelor secundare legate de perfuzie. Ritmul perfuziei poate fi crescut treptat la următoarele administrări. Un studiu a evaluat urmările administrării Fabrazyme la copii și s-a sugerat că Fabrazyme poate fi administrat la copiii între 8 și 16 ani în aceeași doză. Pacienții cu afecțiuni renale severe pot avea un răspuns mai slab la tratament. Fabrazyme este destinat administrării pe termen lung.

Cum acționează Fabrazyme?

Fabrazyme este o terapie de substituție enzimatică. Scopul terapiilor de substituție enzimatică este de a asigura pacienților enzima deficitară. Fabrazyme este destinat înlocuirii enzimei umane alfa-galactozidază A, care este deficitară la persoanele cu boala Fabry. Substanța activă conținută de Fabrazyme, agalsidaza beta, este o copie a enzimei umane care este produsă printr-o metodă cunoscută sub denumirea de „tehnologia ADN-ului recombinant”: este produsă de o celulă care a primit o genă

(ADN), care o face capabilă să producă această enzimă. Enzima de substituție ajută la descompunerea GL-3 și oprește acumularea acesteia în celulele pacientului.

Cum a fost studiat Fabrazyme?

Au fost prezentate trei studii clinice care au implicat în total 73 de pacienți adulți. În studiul principal, Fabrazyme a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) la 58 de pacienți. Studiul a cercetat efectul medicamentelor asupra eliminării GL-3 de la nivel renal.

Eficacitatea Fabrazyme a fost, de asemenea, testată la 16 copii cu boala Fabry, cu vârste între 8 și 16 ani.

Ce beneficii a prezentat Fabrazyme în timpul studiilor?

În studiul principal, după 20 de săptămâni de tratament, Fabrazyme a condus la un clearance foarte mare și aproape complet de GL-3 la nivelul celulelor renale: 69% din pacienții tratați cu Fabrazyme au prezentat cel mai bun rezultat al clearance-ului, comparativ cu niciun pacient din grupul placebo.

Aceasta poate conduce la îmbunătățirea simptomatologiei sau la stabilizarea bolii.

Copiii tratați cu Fabrazyme au prezentat, de asemenea, scăderea nivelurilor de GL-3 din sânge, toți copiii având niveluri normale după 20 de săptămâni de tratament. Acest lucru a fost însoțit de îmbunătățirea simptomatologiei și îmbunătățirea calității vieții copiilor .

Care sunt riscurile asociate cu Fabrazyme?

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Fabrazyme (observate la mai mult de 1 din 10 pacienți) sunt cauzate mai degrabă de perfuzie, decât de medicament. Aceste efecte sunt în principal febra și frisoanele. Alte efecte secundare des întâlnite sunt cefaleea, parestezia (senzații anormale, precum înțepăturile), greața (senzația de rău), vărsăturile, înroșirea și senzația de frig. Efectele secundare raportate la copii sunt asemănătoare cu cele ale pacienților adulți. Pentru lista completă a tuturor efectelor secundare raportate asociate cu Fabrazyme, a se consulta prospectul.

Pacienții care primesc Fabrazyme pot produce anticorpi (proteine care sunt produse ca răspuns la Fabrazyme și pot afecta tratamentul).

Fabrazyme nu se administrează persoanelor care pot prezenta hipersensibilitate (alergie) la agalsidază beta sau la oricare alt ingredient al acestui medicament.

De ce a fost aprobat Fabrazyme?

Comitetul pentru produse medicamentoase de uz uman (CHMP) a hotărât că, pentru pacienții cu boala Fabry, tratamentul cu Fabrazyme poate oferi beneficii clinice pe termen lung. CHMP a hotărât că beneficiile Fabrazyme sunt mai mari decât riscurile sale în terapia de substituție enzimatică pe termen lung la pacienții la care a fost confirmat diagnosticul de boală Fabry. Comitetul a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru Fabrazyme .

Fabrazyme a fost inițial autorizat în „circumstanțe excepționale”, deoarece, din cauză că boala este rară, în momentul aprobării informațiile puse la dispoziție erau limitate. Având în vedere că societatea a pus la dispoziție informațiile suplimentare solicitate, „circumstanțele excepționale” au încetat la 6 februarie 2008.

Alte informații despre Fabrazyme:

Comisia Europeană a acordat Genzyme Europe B.V. o autorizație de introducere pe piață pentru Fabrazyme, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 3 august 2001. Autorizația de introducere pe piață a fost reînnoită la 3 august 2006.

Documentul care înregistrează desemnarea Fabrazyme ca medicament orfan este disponibil [aici](#).

EPAR-ul complet pentru Fabrazyme este disponibil [aici](#).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 02-2008.