



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidase alfa*)

Общ преглед на Elfabrio и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Elfabrio и за какво се използва?

Elfabrio е лекарство, което се използва при възрастни за лечение на болест на Фабри, рядко наследствено заболяване. Пациентите с болест на Фабри нямат достатъчно ензим, наречен алфа-галактозидаза А, който обикновено разгражда мастно вещество, наречено глоботриаозилцерамид (Gb3). Ако ензимът отсъства, Gb3 не може да се разгради и се натрупва в органите, например бъбреците и сърцето, което причинява бъбречна недостатъчност и сърдечни проблеми.

Elfabrio съдържа активното вещество пегунигалсидаза алфа (*pegunigalsidase alfa*).

Как се използва Elfabrio?

Elfabrio се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде наблюдавано от лекар с опит в лечението на болестта на Фабри.

Elfabrio се предлага под формата на инфузия (капково вливане) във вена, която се прилага веднъж на всеки две или четири седмици. Показан е за продължителна употреба. Всички пациенти трябва да се наблюдават за реакции по време на вливането и най-малко един до два часа след това. За да се намали рискът от реакции, свързани с вливането, пациентите могат да приемат други лекарства преди или по време на лечението с Elfabrio или скоростта на вливането може да се забави. Инфузиите се прилагат в болница, но може да се прилагат в домашни условия, ако пациентът има добра поносимост към тях.

За повече информация относно употребата на Elfabrio вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Elfabrio?

Elfabrio е ензимозаместваща терапия. Този вид терапия снабдява пациентите с ензима, който им липсва. Elfabrio е предназначен да замени човешкия ензим алфа-галактозидаза А, който липсва при пациенти с болестта на Фабри. Активното вещество в Elfabrio, пегунигалсидаза алфа, е копие на човешкия ензим, произвеждано по метод, познат като „рекомбинантна ДНК технология“ — от бактерии, получили ген (ДНК), което ги прави способни да произвеждат ензима. Заместващият ензим помага да се разгради Gb-3 и да се спре натрупването му в клетките на пациента.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Какви ползи от Elfabrio са установени в проучванията?

Ползите от Elfabrio са оценени в едно основно проучване, обхващащо 78 пациенти с болест на Фабри. Проучването сравнява Elfabrio с Fabrazyme, друга ензимозаместваща терапия, използвана за лечение на пациенти с болест на Фабри. Основната мярка за ефективност се основава на скоростта на гломерулна филтрация (GFR; мярка за това колко добре функционират бъбреците), която намалява с влошаване на бъбречната функция на пациента. Средната GFR намалява с 2,5 ml/min/1,73 m² годишно след 12 и 24 месеца на лечение с Elfabrio в сравнение с 1,7 ml/min/1,73 m² и 2,2 ml/min/1,73 m² при тези, които получават Fabrazyme. Подкрепящи данни показват значително намаляване на нивата на Gb3 в бъбреците и кръвта на пациентите, лекувани с Elfabrio.

Проучванията, проведени с Elfabrio, са описани по-подробно в докладите за оценка на лекарството.

Какви са нежеланите реакции и ограниченията при Elfabrio?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Elfabrio вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Elfabrio (които може да засегнат не повече от 1 на 10 души) включват реакции, свързани с вливането, гадене, астения (отпадналост) и главоболие.

Алергични реакции, включително прекомерно и продължително свиване на мускулите на дихателните пътища, причиняващо затруднения в дишането (бронхоспазъм), могат да настъпят при хора, които получават Elfabrio.

Защо Elfabrio е разрешен за употреба в ЕС?

Агенцията счита, че ефикасността на Elfabrio е подкрепена от естеството на активното вещество, и по-специално, че това е пегилирана форма на естествения ензим, а също и от добре установения механизъм на действие на ензимозаместващата терапия при лечението на болестта на Фабри. Резултатите от основното проучване показват значително намаляване на нивата на Gb3 както в бъбреците, така и в кръвта на пациентите, лекувани с Elfabrio. Поради ограничения в проекта на проучването, включително малкия брой на участващите пациенти, резултатите от основното проучване не показват убедително, че Elfabrio е поне толкова ефективен, колкото Fabrazyme.

Освен това се счита, че нежеланите лекарствени реакции при Elfabrio, които са свързани основно с инфузията, могат да бъдат овладени. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Elfabrio са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Elfabrio?

Фирмата, която предлага Elfabrio, ще предостави обучителни материали на пациентите или на техните болногледачи и на медицинските специалисти с информация как правилно да прилагат продукта в домашни условия.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Elfabrio, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Elfabrio непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Elfabrio, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Elfabrio:

Elfabrio получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 4 май 2023 г.

Допълнителна информация за Elfabrio, включително листовката и оценъчния доклад, можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

За информация относно наличието на това лекарство във вашата страна се свържете с [националния компетентен орган](#).

Дата на последно актуализиране на текста 03-2026.