



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/396624/2015
EMA/H/C/000369

Резюме на EPAR за обществено ползване

Replagal

agalsidase alfa

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Replagal. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Replagal.

Какво представлява Replagal?

Replagal е лекарство, което съдържа активното вещество агалзидаза алфа (*agalsidase alfa*). Предлага се под формата на концентрат, от който се приготвя инфузионен разтвор (вливане) за вена.

За какво се използва Replagal?

Replagal се използва за лечение на пациенти с болестта на Фабри, рядко наследствено заболяване. Пациентите с болестта на Фабри нямат достатъчно количество от ензима, наречен алфа-галактозидаза А. Този ензим обикновено разгражда мастното вещество, наречено глоботриаозилцерамид (Gb3 or GL-3). Ако ензимът отсъства, Gb3 не може да бъде разграден и се натрупва в клетките, например в бъбречните клетки.

Хората с болестта на Фабри могат да имат много на брой признаци и симптоми, включително тежки състояния като бъбречна недостатъчност, сърдечни проблеми и удар.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Как се използва Replagal?

Лечението с Replagal трябва да се извършва от лекар с опит в лечението на пациенти с болестта на Фабри или други наследствени метаболитни заболявания.



Replagal се прилага веднъж на всеки 2 седмици, под формата на инфузия от 0,2 mg на килограм телесно тегло за период от време над 40 минути. Предназначен е за продължителна употреба.

Как действа Replagal?

Replagal е ензимозаместваща терапия. Ензимозаместващата терапия снабдява пациентите с ензима, който им липсва. Replagal е предназначен да замени човешкия ензим алфа-галактозидаза А, който липсва при хората с болестта на Фабри. Активното вещество в Replagal, агалзидаза алфа, е копие на човешкия ензим, произвеждан по метод, познат като „рекомбинантна ДНК технология“ — от бактерии, получили ген (ДНК), което им дава възможност да произвеждат ензима. Заместващият ензим помага да се разгради Gb3 и да се спре натрупването (акумулирането) му в клетките.

Как е проучен Replagal?

Replagal е сравнен с плацебо (сляпо лечение) в две основни проучвания, обхващащи общо 40 пациенти от мъжки пол. Първото проучване измерва ефекта от Replagal върху болката, докато второто проучване измерва неговия ефект върху масата на лявата камера (сърдечен мускул), измерване на количеството на Gb3 в клетките на сърцето. Разгледан е също така ефектът от прилагане на ежеседмични дози вместо през две седмици. Проведено е допълнително проучване при 15 пациентки. Replagal е оценен и в допълнителни проучвания при 38 деца на възраст от 7 години и повече.

Какви ползи от Replagal са установени в проучванията?

След 6 месеца лечение Replagal намалява значително болката при пациентите в сравнение с пациентите, лекувани с плацебо. Replagal намалява масата на лявата камера средно с 11,5 g, докато при пациентите, получаващи плацебо, има увеличение на масата на лявата камера с 21,8 g. Ефектите при пациентките са сравними с резултатите, наблюдавани при пациентите от мъжки пол, а ежеседмичното прилагане не показва предимства пред стандартния режим на лечение. При децата, които получават лечение с Replagal, няма неочаквано увеличение на сърдечната маса, като нивата на Gb3 в кръвта им са намалени.

Какви са рисковете, свързани с Replagal?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Replagal (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са причинени по-скоро от инфузията, отколкото от лекарството. Тези реакции са предимно студени тръпки, главоболие, гадене, повишена температура (треска), болка и дискомфорт, зачервяване и слабост (умора), като рядко са тежки. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения, съобщени при Replagal, вижте листовката.

Защо Replagal е разрешен за употреба?

CHMP реши, че при пациентите с болестта Фабри лечението с Replagal може да доведе до дългосрочни клинични ползи. CHMP реши, че ползите от Replagal са по-големи от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

Първоначално Replagal е одобрен при „извънредни обстоятелства“, тъй като болестта е рядка и към момента на одобряването е предоставена ограничена информация. Тъй като компанията е предоставила необходимата допълнителна информация, „извънредните обстоятелства“ отпадат на 20 юли 2015 г.

Допълнителна информация за Replagal:

На 3 август 2001 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Replagal, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Replagal може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). За повече информация относно лечението с Replagal прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Дата на последно актуализиране на текста 06-2015.