



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240090/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidáza alfa*)

Přehled pro přípravek Elfabrio a proč byl přípravek registrován v EU

Co je **přípravek** Elfabrio a k **čemu** se používá?

Elfabrio je léčivý přípravek používaný u dospělých k léčbě Fabryho choroby, což je vzácné dědičné onemocnění. Pacienti s Fabryho chorobou nemají dostatek enzymu zvaného alfa-galaktosidáza A, který za běžných okolností štěpí tukovou látku zvanou globotriaosylceramid (Gb3). Pokud uvedený enzym není v těle přítomen, Gb3 nemůže být odbouráván a hromadí se v orgánech, např. v ledvinách a srdci, což způsobuje selhání ledvin a srdeční potíže.

Přípravek Elfabrio obsahuje léčivou látku pegunigalsidáza alfa.

Jak se **přípravek** Elfabrio používá?

Výdej přípravku Elfabrio je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou Fabryho choroby.

Přípravek Elfabrio je dostupný ve formě infuze (kapání) do žíly, která se podává jednou za dva týdny. Je určen k dlouhodobému podávání. V průběhu podávání infuze a nejméně jednu až dvě hodiny po jejím ukončení jsou všichni pacienti monitorováni, zda se u nich neobjeví nějaké reakce. Za účelem snížení rizika reakcí souvisejících s infuzí lze pacientům před zahájením léčby přípravkem Elfabrio nebo během ní podávat jiné léčivé přípravky nebo lze podávání infuze zpomalit. Infuze se podávají v nemocnici. Pokud však pacient infuze dobře snáší, mohou být podávány v domácím prostředí.

Více informací o používání přípravku Elfabrio naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak **přípravek** Elfabrio **působí**?

Přípravek Elfabrio se používá k enzymové substituční léčbě. V rámci tohoto typu léčby je pacientům podáván enzym, kterého mají nedostatek. Přípravek Elfabrio byl vyvinut tak, aby nahrazoval lidský enzym alfa-galaktosidázu A, kterého mají pacienti s Fabryho chorobou nedostatek. Léčivá látka v přípravku Elfabrio, pegunigalsidáza alfa, je kopií lidského enzymu. Vyrábí se metodou označovanou jako „technologie rekombinantní DNA“: je vytvářena buňkami, do kterých byl vložen gen (DNA), díky němuž jsou schopné produkovat tento enzym. Tento substituční enzym napomáhá štěpení Gb3 a zabraňuje jeho hromadění v buňkách pacientů.



Jaké **přínosy přípravku** Elfabrio byly prokázány v **průběhu** studií?

Přínosy přípravku Elfabrio byly hodnoceny v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 78 pacientů s Fabryho chorobou. Studie porovnávala přípravek Elfabrio s přípravkem Fabrazyme, což je jiný přípravek používaný k enzymové substituční léčbě pacientů s Fabryho chorobou. Hlavní měřítko účinnosti bylo založeno na glomerulární filtraci (GFR, což je ukazatel toho, jak dobře fungují ledviny), jejíž hodnota se v důsledku zhoršování funkce ledvin pacienta snižuje. Průměrná hodnota GFR se po 12 i 24 měsících léčby přípravkem Elfabrio snížila o 2,5 ml/min/1,73 m² za rok ve srovnání se snížením o 1,7 ml/min/1,73 m² po 12 měsících a o 2,2 ml/min/1,73 m² po 24 měsících léčby přípravkem Fabrazyme. Z podpůrných údajů vyplynulo, že u pacientů léčených přípravkem Elfabrio došlo k významnému snížení hladiny Gb3 v ledvinách i v krvi.

Jaká rizika jsou spojena s **přípravkem** Elfabrio?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Elfabrio je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Elfabrio (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou hypersenzitivita (alergické reakce), astenie (slabost) a reakce související s infuzí.

U osob, kterým je podáván přípravek Elfabrio, se mohou vyskytnout alergické reakce, včetně nadměrných a dlouhotrvajících stahů svalů dýchacích cest, což způsobuje potíže s dýcháním (bronchospasmus).

Na **základě čeho** byl **přípravek** Elfabrio registrován v EU?

Agentura dospěla k závěru, že k účinnosti přípravku Elfabrio přispívá povaha léčivé látky, konkrétně to, že se jedná o pegylovanou formu přirozeně se vyskytujícího enzymu, a také dobře zavedený mechanismus účinku enzymové substituční léčby při léčbě Fabryho choroby. Výsledky hlavní studie prokázaly významné snížení hladiny Gb3 v ledvinách i v krvi pacientů léčených přípravkem Elfabrio. Vzhledem k omezením v uspořádání studie, včetně malého počtu zúčastněných pacientů, výsledky hlavní studie přesvědčivě neprokázaly, že přípravek Elfabrio je přinejmenším stejně účinný jako přípravek Fabrazyme.

Nežádoucí účinky přípravku Elfabrio, které souvisejí zejména s infuzí, se navíc považují za zvladatelné. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Elfabrio převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká **opatření** jsou **uplatňována** k **zajištění bezpečného** a **účinného** používání **přípravku** Elfabrio?

Společnost, která přípravek Elfabrio dodává na trh, poskytne pacientům nebo jejich pečovateli a zdravotnickým pracovníkům edukační materiály s informacemi o tom, jak správně tento přípravek podávat v domácím prostředí.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Elfabrio, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Elfabrio průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Elfabrio jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o **přípravku** Elfabrio

Přípravku Elfabrio bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 4. května 2023.

Další informace o přípravku Elfabrio jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 05-2023.