



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/65766/2013
EMA/H/C/000370

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Fabrazyme

agalsidasum beta

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Fabrazyme. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek pro používání přípravku Fabrazyme.

Co je Fabrazyme?

Fabrazyme je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku agalsidáza beta. Je k dispozici ve formě prášku pro přípravu infuzního roztoku (kapání do žíly).

K čemu se přípravek Fabrazyme používá?

Přípravek Fabrazyme se používá k léčbě pacientů, kteří trpí Fabryho chorobou, což je vzácné dědičné onemocnění. Pacienti s Fabryho chorobou nemají dostatek enzymu alfa-galaktosidáza A. Tento enzym obvykle slouží ke štěpení tukové látky s názvem globotriaosylceramid (GL-3 nebo Gb3). Pokud tento enzym není v těle přítomen, nemůže dojít ke štěpení GL-3 a tato látka se hromadí v buňkách, např. v ledvinových buňkách.

Osoby trpící Fabryho chorobou mohou vykazovat širokou škálu známek a příznaků, včetně závažných onemocnění, jako je selhání ledvin, srdeční problémy nebo mozková příhoda.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Jak se přípravek Fabrazyme používá?

Přípravek Fabrazyme by měl být podáván pouze lékařem, který má zkušenosti s léčbou Fabryho choroby nebo jiných dědičných metabolických onemocnění.

Přípravek Fabrazyme se podává jednou za dva týdny ve formě infuze v dávce 1 mg na kilogram tělesné hmotnosti. Aby se snížilo riziko výskytu nežádoucích účinků souvisejících s infuzí, počáteční



rychlost infuze by neměla překročit 0,25 mg/min. (15 mg/hod.). Při dalších infuzích může být rychlost infuze postupně zvyšována.

Přípravek Fabrazyme je určen k dlouhodobému užívání. Infuze přípravku se podávají v nemocnici, prokáže-li se však, že pacient infuze dobře snáší, je možné je podávat i v domácím prostředí.

Jak přípravek Fabrazyme působí?

Přípravek Fabrazyme představuje enzymatickou substituční léčbu. Prostřednictvím enzymatické substituční léčby je pacientům dodáván enzym, který jim chybí. Přípravek Fabrazyme je vyvinut tak, aby nahrazoval lidský enzym alfa-galaktosidázu A, který pacienti trpící Fabryho chorobou postrádají. Léčivá látka v přípravku Fabrazyme, agalsidáza beta, je kopií lidského enzymu a vyrábí se metodou označovanou jako „technologie rekombinantní DNA“: je vytvářena buňkami, do kterých byl vložen gen (DNA), díky němuž jsou schopné produkovat tento enzym. Substituční enzym napomáhá štěpení GL-3 a zabraňuje jeho hromadění v buňkách pacienta.

Jak byl přípravek Fabrazyme zkoumán?

Přípravek Fabrazyme byl zkoumán ve třech studiích, do kterých bylo zařazeno celkem 73 dospělých. V hlavní studii byl přípravek Fabrazyme srovnáván s placebem (léčbou neúčinným přípravkem) u 58 pacientů. Studie zkoumala účinnost léků v rámci odstraňování GL-3 z ledvin. Účinnost přípravku Fabrazyme byla zkoumána také u 16 dětí s Fabryho chorobou ve věku od 8 do 16 let.

Jaký přínos přípravku Fabrazyme byl prokázán v průběhu studií?

V hlavní studii dosáhl přípravek Fabrazyme po 20 týdnech léčby vysoce významného a téměř kompletního odstranění GL-3 z ledvinových buněk. 69 % pacientů léčených přípravkem Fabrazyme dosáhlo nejvyšší úrovně odstranění GL-3, zatímco ve skupině léčené placebem tohoto výsledku nedosáhl nikdo.

U dětí léčených přípravkem Fabrazyme bylo rovněž dosaženo snížení hladin GL-3 v krvi, přičemž u všech dětí bylo docíleno normálních hladin po 20 týdnech léčby. Tyto výsledky byly doprovázeny zlepšením příznaků a kvality života.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Fabrazyme?

Nejčastější nežádoucí účinky přípravku Fabrazyme (zaznamenané u více než 1 pacienta z 10) jsou způsobeny spíše infuzí než samotným léčivým přípravkem. Mezi tyto účinky patří horečka, zimnice, bolest hlavy, parestezie (neobvyklé pocity, jako je brnění a mravenčení), nauzea (pocit nevolnosti), zvracení a pocity chladu. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Fabrazyme je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Fabrazyme nesmí užívat osoby s možnou přecitlivělostí (alergií) na agalsidázu beta nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku.

Na základě čeho byl přípravek Fabrazyme schválen?

Výbor CHMP rozhodl, že pro pacienty trpící Fabryho chorobou může být léčba přípravkem Fabrazyme dlouhodobě klinicky přínosná. Výbor CHMP rozhodl, že přínosy přípravku Fabrazyme převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Další informace o přípravku Fabrazyme

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Fabrazyme platné v celé Evropské unii dne 3. srpna 2001.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Fabrazyme je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Další informace o léčbě přípravkem Fabrazyme naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 02-2013.