



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Replagal

agalsidasum alfa

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Replagal. 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 používání přípravku Replagal.

Co je Replagal?

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

K čemu se přípravek Replagal používá?

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

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

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Jak se přípravek Replagal používá?

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

Přípravek Replagal se podává jednou za dva týdny ve formě infuze v dávce 0,2 mg na kilogram tělesné hmotnosti po dobu 40 minut. Je určen k dlouhodobému užívání.



Jak přípravek Replagal působí?

Přípravek Replagal představuje enzymatickou substituční léčbu. V rámci této léčby je pacientům dodáván enzym, který jim chybí. Přípravek Replagal je vyvinut tak, aby nahrazoval lidský enzym alfa-galaktosidázu A, který osoby trpící Fabryho nemocí postrádají. Léčivá látka v přípravku Replagal, agalsidáza alfa, 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 Gb3 a zabraňuje jeho hromadění v buňkách.

Jak byl přípravek Replagal zkoumán?

Přípravek Replagal byl porovnáván s placebem (léčbou neúčinným přípravkem) ve dvou hlavních studiích, do kterých bylo zařazeno celkem 40 pacientů mužského pohlaví. První studie zkoumala účinky přípravku Replagal na bolest, přičemž druhá studie hodnotila jeho účinky na hmotnost levé komory (srdečního svalu), což je ukazatel množství Gb3 v srdečních buňkách. Zkoumány byly také účinky podávání přípravku jednou týdně oproti jeho podávání jednou za dva týdny. Další studie byla provedena na 15 pacientkách. Přípravek Replagal byl hodnocen i v dalších studiích, do kterých bylo zařazeno 38 dětí ve věku od 7 let.

Jaký přínos přípravku Replagal byl prokázán v průběhu studií?

Po 6 měsících léčby přípravek Replagal v porovnání s placebem významně snížil bolest pacientů. Léčba přípravkem Replagal vedla k úbytku hmotnosti levé komory v průměru o 11,5 g, zatímco u pacientů léčených placebem byl naopak zaznamenán její nárůst o 21,8 g. Účinky přípravku u pacientek byly srovnatelné s jeho účinky u pacientů a podávání přípravku jednou týdně nemělo žádné výhody oproti jeho podávání ve standardní dávce. Děti léčené přípravkem Replagal nevykazovaly žádný nečekaný nárůst hmotnosti srdce a došlo u nich ke snížení hladin Gb3 v krvi.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Replagal?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Replagal (zaznamenanými u více než 1 pacienta z 10) jsou reakce související s podáváním infuze. Patří mezi ně zimnice, bolesti hlavy, nauzea (pocit nevolnosti), pyrexie (horečka), bolest a nepříjemné pocity, zrudnutí a únava, přičemž tyto nežádoucí účinky jsou jen zřídka závažného charakteru. Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Replagal je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Replagal schválen?

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

Přípravek Replagal byl původně registrován „za výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze onemocnění bylo v době jeho schvalování k dispozici pouze omezené množství informací. Vzhledem k tomu, že společnost požadované doplňující informace předložila, označení „za výjimečných okolností“ bylo dne 20. července 2015 odvoláno.

Další informace o přípravku Replagal

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

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Replagal je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Další informace o léčbě přípravkem Replagal naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 06-2015.