



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240091/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidase alfa*)

En oversigt over Elfabrio, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Elfabrio, og hvad anvendes det til?

Elfabrio er et lægemiddel, der anvendes til behandling af voksne med Fabrys sygdom, som er en sjælden arvelig sygdom. Patienter med Fabrys sygdom har for lidt af enzymet alfa-galactosidase A, der normalt nedbryder fedtstoffet globotriaosylceramid (Gb3). Hvis enzymet ikke er til stede, kan Gb3 ikke nedbrydes, og det hober sig op i organer som nyrer og hjerte og medfører dermed nyresvigt og hjerteproblemer.

Elfabrio indeholder det aktive stof pegunigalsidase alfa.

Hvordan anvendes Elfabrio?

Elfabrio fås kun på recept, og behandlingen bør overvåges af en læge med erfaring i behandling af Fabrys sygdom.

Elfabrio er tilgængeligt som en infusion (drop) i en vene, der gives én gang hver anden uge. Det er beregnet til langtidsbehandling. Alle patienter overvåges for eventuelle reaktioner under infusionen og i mindst 1-2 timer efterfølgende. For at mindske risikoen for bivirkninger ved infusionen kan patienterne få andre lægemidler før eller under behandlingen med Elfabrio, eller infusionen kan gives over længere tid. Infusionerne gives på hospitalet, men kan også gives hjemme, hvis patienten tåler infusionerne godt.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Elfabrio, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Elfabrio?

Elfabrio er en enzymsubstitutionsbehandling. Denne type behandling giver patienterne det enzym, de mangler. Elfabrio er beregnet til at erstatte det humane enzym alfa-galactosidase A, som patienter med Fabrys sygdom mangler. Det aktive stof i Elfabrio, pegunigalsidase alfa, er en kopi af det humane enzym og er fremstillet ved hjælp af en metode, der kaldes "rekombinant DNA-teknologi", dvs. det fremstilles af celler, som har fået et gen (DNA), der sætter dem i stand til at producere enzymet. Substitutionsenzymet hjælper med at nedbryde Gb3 og forhindrer det i at hobe sig op i patientens celler.



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Elfabrio?

Fordelene ved Elfabrio blev vurderet i et hovedstudie, der omfattede 78 patienter med Fabrys sygdom. I studiet blev Elfabrio sammenlignet med Fabrazyme, en anden enzymsubstitutionsbehandling, der anvendes til patienter med Fabrys sygdom. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på den glomerulære filtrationshastighed (GFR, et mål for, hvor godt nyrerne fungerer), som falder, når en patients nyrefunktion bliver dårligere. Den gennemsnitlige GFR faldt med 2,5 ml/min/1,73 m² pr. år efter både 12 og 24 måneders behandling med Elfabrio, sammenholdt med 1,7 ml/min/1,73 m² og 2,2 ml/min/1,73 m² hos dem, der fik Fabrazyme. Underbyggende data viste et betydeligt fald i niveauet af Gb3 i nyrerne og blodet hos de patienter, der blev behandlet med Elfabrio.

Hvilke risici er der forbundet med Elfabrio?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Elfabrio fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Elfabrio (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er overfølsomhed (allergiske reaktioner), asteni (kraftsløshed) og infusionsrelaterede reaktioner.

Allergiske reaktioner, herunder kraftige og langvarige muskelsammentrækninger i luftvejene, der giver vejrtrækningsbesvær (bronkospasme), kan forekomme hos personer, der får Elfabrio.

Hvorfor er Elfabrio godkendt i EU?

Agenturet fandt, at virkningen af Elfabrio blev understøttet af det aktive stofs natur, navnlig at det er en pegyleret form af det naturligt forekommende enzym, og også af den veletablerede virkningsmekanisme ved enzymsubstitutionsterapi ved behandling af Fabrys sygdom. Resultaterne fra hovedstudiet viste et betydeligt fald i niveauet af Gb3 i både nyrerne og blodet hos de patienter, der blev behandlet med Elfabrio. På grund af begrænsninger i studiets udformning, bl.a. det lave antal patienter, viste resultaterne af hovedstudiet ikke med sikkerhed, at Elfabrio var mindst lige så effektivt som Fabrazyme.

Desuden anses de bivirkninger ved Elfabrio, som primært er forbundet med infusionen, for at kunne håndteres. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Elfabrio opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Elfabrio anvendes sikkert og effektivt?

Den virksomhed, der markedsfører Elfabrio, skal udlevere oplysningsmateriale til patienter eller deres omsorgsgivere og til sundhedspersoner om, hvordan produktet gives korrekt i hjemmet.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Elfabrio anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Elfabrio løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Elfabrio vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Elfabrio

Elfabrio fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 4. maj 2023.

Der findes mere information om Elfabrio på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 05-2023.