

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

EPAR - sammendrag for offentligheden

Fabrazyme

agalsidase beta

Dette er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Fabrazyme. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om anvendelsesbetingelserne for Fabrazyme.

Hvad er Fabrazyme?

Fabrazyme er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof agalsidase beta. Det fås som et pulver, der blandes til en opløsning til infusion (drop) i en vene.

Hvad anvendes Fabrazyme til?

Fabrazyme anvendes til behandling af patienter, som lider af Fabrys sygdom, en sjælden arvelig sygdom. Patienter med Fabrys sygdom mangler enzymet alfa-galactosidase A. Dette enzym nedbryder normalt et fedtstof, som hedder globotriaosylceramid (GL-3 eller Gb3). Hvis enzymet mangler, kan GL-3 ikke nedbrydes, og det hober sig op i cellerne, f.eks. nyrecellerne.

Personer med Fabrys sygdom kan have en lang række tegn og symptomer, herunder alvorlige lidelser såsom nyresvigt, hjerteproblemer og slagtilfælde.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes Fabrazyme?

Fabrazyme må kun gives af læger med erfaring i behandling af patienter med Fabrys sygdom eller andre arvelige stofskiftesygdomme.

Fabrazyme gives én gang hver anden uge som en infusion a 1 mg pr. kg kropsvægt. Den indledende infusionshastighed må ikke overstige 0,25 mg i minuttet (15 mg i timen) for at minimere den

potentielle forekomst af infusionsrelaterede reaktioner. Infusionshastigheden kan øges gradvist ved efterfølgende infusioner.

Fabrazyme er beregnet til langvarig brug. Infusionerne gives på hospitalet, men kan gives i hjemmet, hvis det har vist sig, at patienten tolererer infusionerne godt.

Hvordan virker Fabrazyme?

Fabrazyme er en enzymsubstitutionsbehandling. Enzymsubstitutionsbehandlinger giver patienterne det enzym, de mangler. Fabrazyme er designet til at erstatte det humane enzym alfa-galactosidase A, som patienter med Fabrys sygdom mangler. Det aktive stof i Fabrazyme, agalsidase beta, er en kopi af det humane enzym og fremstillet ved hjælp af en metode, der kaldes "rekombinant teknologi": Det fremstilles af celler, som har modtaget et gen (DNA), der sætter dem i stand til at producere enzymet. Substitutionsenzymet hjælper med at nedbryde GL-3 og forhindrer det i at hobe sig op i patientens celler.

Hvordan blev Fabrazyme undersøgt?

Fabrazyme blev undersøgt i tre undersøgelser med i alt 73 voksne. I hovedundersøgelsen blev Fabrazyme sammenlignet med placebo (en virkningsløs behandling) hos 58 patienter. I undersøgelsen blev der set nærmere på lægemidlets virkning med henblik på fjernelse af GL-3 i nyrerne. Fabrazymes virkning blev også undersøgt hos 16 børn i alderen otte til 16 år, som havde Fabrys sygdom.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Fabrazyme?

I hovedundersøgelsen opnåede Fabrazyme en meget signifikant og næsten fuldstændig eliminering af GL-3 i nyrecellerne efter 20 ugers behandling. 69 % af de patienter, der blev behandlet med Fabrazyme, opnåede de bedste resultater for eliminering, sammenlignet med ingen af patienterne i placebogruppen.

Hos børn behandlet med Fabrazyme sås der også et fald i GL-3-niveauet i blodet, mens niveauet hos alle børn var normalt efter 20 ugers behandling. Dette blev efterfulgt af forbedringer af symptomerne og en bedre livskvalitet.

Hvilken risiko er der forbundet med Fabrazyme?

De hyppigste bivirkninger ved Fabrazyme (som optræder hos flere end 1 ud af 10 patienter) skyldes infusionen snarere end lægemidlet. Disse omfatter feber, kulderystelser, hovedpine, paræstesi (unormale fornemmelser såsom prikken og stikken), kvalme, opkastning og kuldefornemmelse. Den fuldstændige liste over alle indberettede bivirkninger ved Fabrazyme fremgår af indlægssedlen.

Fabrazyme må ikke gives til personer, der er overfølsomme (allergiske) over for agalsidase beta eller andre af indholdsstofferne.

Hvorfor blev Fabrazyme godkendt?

CHMP besluttede, at for patienter med Fabrys sygdom kan behandling med Fabrazyme give kliniske fordele på lang sigt. CHMP besluttede, at fordelene ved Fabrazyme opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af en markedsføringstilladelse.

Andre oplysninger om Fabrazyme

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Fabrazyme den 3. august 2001.

Den fuldstændige EPAR for Fabrazyme findes på agenturets websted: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Fabrazyme, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 02-2013.