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

EPAR - sammendrag for offentligheden

Replagal

agalsidase alfa

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Replagal. 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, hvordan Replagal skal anvendes.

Hvad er Replagal?

Replagal er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof agalsidase alfa. Det fås som et koncentrat til fremstilling af en opløsning til infusion (drop i en vene).

Hvad anvendes Replagal til?

Replagal 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 (Gb3 eller GL-3). Hvis enzymet mangler, kan Gb3 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 Replagal?

Replagal bør kun gives af en læge med erfaring i behandling af patienter med Fabrys sygdom eller andre arvelige stofskiftesygdomme.

Replagal indgives som en infusion i løbet af 40 minutter én gang hver anden uge i doser på 0,2 mg pr. kilogram kropsvægt. Lægemidlet er beregnet til langtidsbehandling.

30 Churchill Place ● Canary Wharf ● London E14 5EU ● United Kingdom
Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555
Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2015. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Hvordan virker Replagal?

Replagal er en enzymsubstitutionsbehandling. Enzymsubstitutionsbehandlingen giver patienterne det enzym, de mangler. Replagal er designet til at erstatte det humane enzym alfa-galactosidase A, som personer med Fabrys sygdom mangler. Det aktive stof i Replagal, agalsidase 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 modtaget 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 cellerne.

Hvordan blev Replagal undersøgt?

Replagal blev sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling) i to hovedundersøgelser, der omfattede i alt 40 mandlige patienter. I den første undersøgelse målte man Replagals effekt på smerter, og i den anden undersøgelse målte man effekten på den venstre ventrikelmasse (hjertemusklen), et mål for mængden af Gb3 i hjertecellerne. Virkningen af ugentlige doser snarere end doser givet hver anden uge blev også undersøgt. Der blev udført en yderligere undersøgelse af 15 kvindelige patienter. Replagal er også blevet evalueret i yderligere undersøgelser, der omfattede 38 børn i alderen 7 år og opefter.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Replagal?

Efter seks måneders behandling nedsatte Replagal patienternes smerter i væsentlig grad sammenlignet med placebo. Replagal reducerede den venstre ventrikelmasse med gennemsnitlig 11,5 g, mens patienter, som modtog placebo, oplevede en stigning i venstre ventrikelmasse på 21,8 g. Virkningerne hos kvindelige patienter viste sig at være sammenlignelige med resultaterne hos mandlige patienter, og der var ingen fordele forbundet med ugentlige doseringer frem for med standarddoseringer. Hos børn, som modtog Replagal, var der ingen uventet forøgelse af hjertets masse, og Gb3-niveauerne i blodet blev formindsket.

Hvilken risiko er der forbundet med Replagal?

De hyppigste bivirkninger ved Replagal (som optræder hos flere end 1 ud af 10 patienter) er infusionsrelaterede reaktioner. Disse omfatter kulderystelser, hovedpine, kvalme, pyreksi (feber), smerter og ubehag, rødmen og træthed, og de er sjældent alvorlige. Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Replagal fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Replagal godkendt?

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

Replagal blev oprindeligt godkendt under "særlige omstændigheder", da der på godkendelsestidspunktet kun forelå sparsomme oplysninger som følge af sygdommens sjældenhed. Da virksomheden havde fremlagt de yderligere oplysninger, som man havde anmodet om, blev de ”særlige omstændigheder” ophævet den 20. juli 2015.

Andre oplysninger om Replagal

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

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

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 06-2015.