



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/005618

Elfabrio (*Pegunigalsidase alfa*)

Leicht verständliche Übersicht über Elfabrio und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Elfabrio und wofür wird es angewendet?

Elfabrio ist ein Arzneimittel, das bei Erwachsenen zur Behandlung von Morbus Fabry, einer seltenen erblichen Erkrankung, angewendet wird. Patienten mit Morbus Fabry verfügen nicht über ausreichend Alpha-Galactosidase A, ein Enzym, das normalerweise eine Fettsubstanz, das sogenannte Globotriaosylceramid (Gb3), abbaut. Ist das Enzym nicht vorhanden, kann Gb3 nicht abgebaut werden und reichert sich in den Organen wie z. B. Niere und Herz, an, was zu Nierenversagen und Herzproblemen führt.

Elfabrio enthält den Wirkstoff Pegunigalsidase alfa.

Wie wird Elfabrio angewendet?

Elfabrio ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von Morbus Fabry erfahrenen Arzt überwacht werden.

Elfabrio ist als Infusion (Tropfinfusion) in eine Vene erhältlich, die einmal alle zwei bis vier Wochen verabreicht wird. Es ist zur Langzeitanwendung bestimmt. Alle Patienten werden während der Infusion und mindestens ein bis zwei Stunden danach auf eventuelle Reaktionen überwacht. Um das Risiko infusionsbedingter Reaktionen zu verringern, können den Patienten vor oder während der Behandlung mit Elfabrio weitere Arzneimittel gegeben werden, oder die Infusion kann langsamer durchgeführt werden. Die Infusionen werden im Krankenhaus verabreicht, können jedoch zu Hause verabreicht werden, wenn der Patient die Infusionen gut verträgt.

Weitere Informationen zur Anwendung von Elfabrio entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Elfabrio?

Elfabrio ist eine Enzyersatztherapie. Diese Art der Therapie versorgt die Patienten mit dem Enzym, das ihnen fehlt. Elfabrio soll das menschliche Enzym Alpha-Galactosidase A ersetzen, das bei Patienten mit Morbus Fabry fehlt. Der Wirkstoff in Elfabrio, Pegunigalsidase alfa, ist eine Kopie des menschlichen Enzyms, das nach einer Methode hergestellt wird, die als „rekombinante DNA-Technologie“ bezeichnet

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



wird: Es wird von Zellen produziert, in die ein Gen (DNA) eingebracht wurde, das sie zur Bildung des Enzyms befähigt. Das Ersatzenzym unterstützt den Gb-3-Abbau und unterbindet seine Anreicherung in den Zellen des Patienten.

Welchen Nutzen hat Elfabrio in den Studien gezeigt?

Der Nutzen von Elfabrio wurde in einer Hauptstudie untersucht, an der 78 Patienten mit Morbus Fabry teilnahmen. In der Studie wurde Elfabrio mit Fabrazyme, einer anderen Enzyzersatztherapie zur Behandlung von Patienten mit Morbus Fabry, verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit basierte auf der glomerulären Filtrationsrate (GFR; ein Maß dafür, wie gut die Nieren arbeiten), die mit der Verschlechterung der Nierenfunktion eines Patienten abnimmt. Die durchschnittliche GFR verringerte sich sowohl nach 12- als auch nach 24-monatiger Behandlung mit Elfabrio um 2,5 ml/min/1,73 m² pro Jahr, verglichen mit 1,7 ml/min/1,73 m² und 2,2 ml/min/1,73 m² bei den Patienten, die Fabrazyme erhielten. Unterstützende Daten zeigten eine signifikante Senkung der Gb3-Spiegel in den Nieren und im Blut von Patienten, die mit Elfabrio behandelt wurden.

Studien, die mit Elfabrio durchgeführt wurden, werden in den Beurteilungsberichten des Arzneimittels ausführlicher beschrieben.

Welche Nebenwirkungen und Einschränkungen gibt es im Zusammenhang mit Elfabrio?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Elfabrio berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Elfabrio (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind infusionsbedingte Reaktionen, Übelkeit, Asthenie (Schwäche) und Kopfschmerzen.

Bei Personen, die Elfabrio erhalten, können allergische Reaktionen auftreten, einschließlich einer übermäßigen und verlängerten Kontraktion der Atemwegsmuskeln, die zu Atembeschwerden führen (Bronchospasmus).

Warum wurde Elfabrio in der EU zugelassen?

Die Agentur war der Auffassung, dass die Wirksamkeit von Elfabrio durch die Art des Wirkstoffs, insbesondere durch die Tatsache, dass es sich um eine pegylierte Form des natürlich vorkommenden Enzyms handelt, sowie durch den bewährten Wirkmechanismus der Enzyzersatztherapie bei der Behandlung der Morbus Fabry gestützt wurde. Die Ergebnisse der Hauptstudie zeigten eine signifikante Senkung der Gb3-Spiegel sowohl in den Nieren als auch im Blut der mit Elfabrio behandelten Patienten. Aufgrund von Einschränkungen des Studiendesigns, einschließlich der geringen Anzahl der beteiligten Patienten, zeigten die Ergebnisse der Hauptstudie nicht schlüssig, dass Elfabrio mindestens so wirksam war wie Fabrazyme.

Darüber hinaus werden die Nebenwirkungen von Elfabrio, die hauptsächlich mit der Infusion in Zusammenhang stehen, als beherrschbar angesehen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Elfabrio gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Elfabrio ergriffen?

Das Unternehmen, das Elfabrio in Verkehr bringt, wird Patienten oder deren Betreuungspersonen sowie medizinischen Fachkräften Schulungsmaterialien mit Informationen über die korrekte Verabreichung des Arzneimittels zu Hause zur Verfügung stellen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Elfabrio, die von medizinischen Fachkräften und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Elfabrio kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Elfabrio werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Elfabrio

Elfabrio erhielt am 4. Mai 2023 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Elfabrio, einschließlich der Packungsbeilage und des Beurteilungsberichts, finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio

Wenn Sie Informationen zur Verfügbarkeit dieses Arzneimittels in Ihrem Land benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihre [zuständige nationale Behörde](#).

Diese Übersicht wurde zuletzt im 03-2026 aktualisiert.