



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/005618

Elfabrio (πεγουνιγαλσιδάση άλφα)

Ανασκόπηση του Elfabrio σε απλή γλώσσα και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Elfabrio και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Elfabrio είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται σε ενήλικες για τη θεραπεία της νόσου Fabry, μιας σπάνιας κληρονομικής διαταραχής. Οι ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο Fabry δεν διαθέτουν επαρκή ποσότητα ενός ενζύμου, της α-γαλακτοσιδάσης Α, το οποίο συνήθως διασπά μια λιπώδη ουσία που ονομάζεται σφαιροτριοσουλκεραμίδα (Gb3). Εάν το ένζυμο δεν υπάρχει, η Gb3 δεν μπορεί να διασπαστεί και συσσωρεύεται στα όργανα, όπως στους νεφρούς και την καρδιά, προκαλώντας νεφρική ανεπάρκεια και καρδιακά προβλήματα.

Το Elfabrio περιέχει τη δραστική ουσία πεγουνιγαλσιδάση άλφα.

Πώς χρησιμοποιείται το Elfabrio;

Το Elfabrio χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η θεραπεία θα πρέπει να πραγματοποιείται υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη θεραπεία της νόσου Fabry.

Το Elfabrio διατίθεται υπό μορφή ενδοφλέβιας έγχυσης (ενστάλαξη), η οποία χορηγείται κάθε δύο έως τέσσερις εβδομάδες. Προορίζεται για μακροχρόνια χρήση. Όλοι οι ασθενείς τελούν υπό παρακολούθηση για οποιαδήποτε αντίδραση κατά τη διάρκεια της έγχυσης και επί τουλάχιστον μία έως δύο ώρες μετά από αυτή. Για να μειωθεί ο κίνδυνος εμφάνισης αντιδράσεων που σχετίζονται με την έγχυση, πριν ή κατά τη διάρκεια της θεραπείας με το Elfabrio μπορούν να χορηγηθούν στους ασθενείς άλλα φάρμακα ή να παραταθεί η διάρκεια της έγχυσης. Οι εγχύσεις χορηγούνται σε νοσοκομειακό περιβάλλον, αλλά μπορούν να χορηγούνται κατ' οίκον εφόσον οι ασθενείς είναι ανεκτικοί στις εγχύσεις.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Elfabrio, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Elfabrio;

Το Elfabrio είναι θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης. Αυτός ο τύπος θεραπείας παρέχει στους ασθενείς το ένζυμο που δεν διαθέτουν. Το Elfabrio προορίζεται να αντικαταστήσει το ανθρώπινο ένζυμο α-γαλακτοσιδάση Α, το οποίο δεν υπάρχει στους ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο Fabry. Η δραστική ουσία που περιέχεται στο Elfabrio, η πεγουνιγαλσιδάση άλφα, είναι αντίγραφο του ανθρώπινου ενζύμου, το οποίο παράγεται με μια μέθοδο γνωστή ως «τεχνολογία ανασυνδυασμένου DNA», δηλαδή από κύτταρα στα οποία έχει ενσωματωθεί ένα γονίδιο (DNA) το οποίο τα καθιστά ικανά να παράγουν το εν

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



λόγω ένζυμο. Το ένζυμο υποκατάστασης συμβάλλει στη διάσπαση του Gb-3 και αναστέλλει τη συσσώρευσή του στα κύτταρα του ασθενούς.

Ποια είναι τα οφέλη του Elfabrio σύμφωνα με τις μελέτες;

Τα οφέλη του Elfabrio αξιολογήθηκαν σε μία κύρια μελέτη, στην οποία μετείχαν 78 ασθενείς με νόσο Fabry. Η μελέτη συνέκρινε το Elfabrio με το Fabrazyme, μια άλλη θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης που χρησιμοποιήθηκε για τη θεραπεία ασθενών με τη νόσο Fabry. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο ρυθμός σπειραματικής διήθησης (GFR, δείκτης της λειτουργίας των νεφρών), ο οποίος μειώνεται όσο επιδεινώνεται η νεφρική λειτουργία του ασθενούς. Ο μέσος GFR μειώθηκε κατά 2,5 mL/min/1,73m² ανά έτος μετά από 12 και 24 μήνες θεραπείας με Elfabrio σε σύγκριση με 1,7 mL/min/1,73m² και 2,2 mL/min/1,73m² στα άτομα που έλαβαν Fabrazyme. Τα υποστηρικτικά δεδομένα κατέδειξαν σημαντική μείωση των επιπέδων του Gb3 στους νεφρούς και στο αίμα των ασθενών που έλαβαν Elfabrio.

Οι μελέτες που πραγματοποιήθηκαν για το Elfabrio περιγράφονται λεπτομερέστερα στις εκθέσεις αξιολόγησης του φαρμάκου.

Ποιες είναι οι ανεπιθύμητες ενέργειες και οι περιορισμοί του Elfabrio;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Elfabrio περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες του Elfabrio (ενδέχεται να παρατηρηθούν σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) είναι αντιδράσεις που σχετίζονται με την έγχυση, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), αδυναμία και κεφαλαλγία.

Στους ασθενείς που λαμβάνουν Elfabrio ενδέχεται να εμφανιστούν αλλεργικές αντιδράσεις, συμπεριλαμβανομένης της υπερβολικής και παρατεταμένης σύσπασης των μυών των αεραγωγών που προκαλεί δυσκολία στην αναπνοή (βρογχόσπασμος).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Elfabrio στην ΕΕ;

Ο Οργανισμός έκρινε ότι η αποτελεσματικότητα του Elfabrio υποστηριζόταν από τη φύση της δραστικής ουσίας, συγκεκριμένα από το γεγονός ότι πρόκειται για πεγκυλιωμένη μορφή του φυσικού ενζύμου, καθώς και από τον καθιερωμένο μηχανισμό δράσης της θεραπείας ενζυμικής υποκατάστασης στη θεραπεία της νόσου Fabry. Τα αποτελέσματα από την κύρια μελέτη κατέδειξαν σημαντική μείωση των επιπέδων του Gb3 τόσο στους νεφρούς όσο και στο αίμα των ασθενών που έλαβαν Elfabrio. Λόγω των περιορισμών στον σχεδιασμό της μελέτης, συμπεριλαμβανομένου του μικρού αριθμού των ασθενών που συμμετείχαν σε αυτή, τα αποτελέσματα της κύριας μελέτης δεν κατέδειξαν με σαφήνεια ότι το Elfabrio ήταν τουλάχιστον εξίσου αποτελεσματικό με το Fabrazyme.

Επιπλέον, οι ανεπιθύμητες ενέργειες του Elfabrio, οι οποίες σχετίζονται κυρίως με την έγχυση, θεωρούνται διαχειρίσιμες. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αποφάσισε ότι τα οφέλη του Elfabrio υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Elfabrio;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Elfabrio θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό στους ασθενείς ή στα άτομα που τους φροντίζουν και στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας, με πληροφορίες σχετικά με τον ορθό τρόπο χορήγησης του προϊόντος κατ' οίκον.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Elfabrio.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Elfabrio τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Elfabrio θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Elfabrio

Το Elfabrio έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 4 Μαΐου 2023.

Περισσότερες πληροφορίες για το Elfabrio, καθώς και το φύλλο οδηγιών χρήσης και η έκθεση αξιολόγησης, διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Για πληροφορίες σχετικά με τη διαθεσιμότητα αυτού του φαρμάκου στη χώρα σας, επικοινωνήστε με την [αρμόδια εθνική αρχή](#) της χώρας σας.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 03-2026.