



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Fabrazyme

αγαλσιδάση βήτα

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Fabrazyme. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Fabrazyme.

Τι είναι το Fabrazyme;

Το Fabrazyme είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία αγαλσιδάση βήτα. Διατίθεται σε μορφή σκόνης για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (ενστάλαξη σε φλέβα).

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Fabrazyme;

Το Fabrazyme χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών που πάσχουν από τη νόσο Fabry, μια σπάνια κληρονομική διαταραχή. Οι ασθενείς με τη νόσο Fabry έχουν ανεπάρκεια ενός ενζύμου, της α-γαλακτοσιδάσης Α. Το ένζυμο αυτό διασπά κανονικά μια λιπώδη ουσία που ονομάζεται σφαιροτριοζυλοκεραμίδιο (GL-3 ή Gb3). Εάν το ένζυμο αυτό απουσιάζει, το GL-3 δεν διασπάται και συσσωρεύεται στα κύτταρα του οργανισμού, όπως π. χ. στα κύτταρα των νεφρών.

Όσοι πάσχουν από τη νόσο Fabry μπορεί να εμφανίζουν ευρύ φάσμα σημείων και συμπτωμάτων, περιλαμβανομένων και σοβαρών παθήσεων, όπως νεφρική ανεπάρκεια, καρδιακά προβλήματα και εγκεφαλικά επεισόδια.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς χρησιμοποιείται το Fabrazyme;

Το Fabrazyme πρέπει να χορηγείται μόνο από γιατρό με εμπειρία στην αντιμετώπιση ασθενών που πάσχουν από τη νόσο του Fabry ή από άλλες κληρονομικές μεταβολικές νόσους.



Το Fabrazyme χορηγείται με έγχυση 1 mg ανά κιλό σωματικού βάρους, μία φορά κάθε δύο εβδομάδες. Ο αρχικός ρυθμός έγχυσης δεν πρέπει να υπερβαίνει τα 0,25 mg/λεπτό (15 mg/ώρα), για να μειώνεται ο κίνδυνος εμφάνισης ανεπιθύμητων ενεργειών σχετιζόμενων με την έγχυση. Ο ρυθμός έγχυσης είναι δυνατό να αυξηθεί σταδιακά στις επόμενες εγχύσεις.

Το Fabrazyme προορίζεται για μακροχρόνια χρήση. Οι εγχύσεις χορηγούνται σε νοσοκομειακό περιβάλλον, αλλά μπορούν να χορηγηθούν και στο σπίτι, εφόσον το φάρμακο γίνεται καλά ανεκτό από τον ασθενή.

Πώς δρα το Fabrazyme;

Το Fabrazyme είναι θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης. Οι θεραπείες ενζυμικής υποκατάστασης παρέχουν στους ασθενείς το ένζυμο που τους λείπει. Το Fabrazyme έχει σχεδιαστεί με στόχο την υποκατάσταση του ανθρώπινου ενζύμου α-γαλακτοσιδάση Α, το οποίο λείπει από τους ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο του Fabry. Η δραστική ουσία του Fabrazyme, η αγαλσιδάση βήτα, είναι αντίγραφο του ανθρώπινου ενζύμου και παράγεται με μια μέθοδο γνωστή ως «τεχνολογία ανασυνδυασμένου DNA»: παράγεται από κύτταρα που έχουν λάβει ένα γονίδιο (DNA), το οποίο τα καθιστά ικανά να παράγουν το ένζυμο. Το ένζυμο υποκατάστασης βοηθά στη διάσπαση του GL-3 και δεν το αφήνει να συσσωρευτεί στα κύτταρα του ασθενούς.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Fabrazyme;

Το Fabrazyme αποτέλεσε αντικείμενο τριών μελετών στις οποίες μετείχαν συνολικά 73 ενήλικες. Στη βασική μελέτη, στην οποία μετείχαν 58 ασθενείς, το Fabrazyme συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Στη μελέτη εξετάστηκαν τα αποτελέσματα του φαρμάκου στην κάθαρση του GL-3 από τα νεφρά. Η αποτελεσματικότητα του Fabrazyme εξετάστηκε επίσης σε 16 παιδιά με νόσο του Fabry ηλικίας οχτώ έως 16 ετών.

Ποιο είναι το όφελος του Fabrazyme σύμφωνα με τις μελέτες;

Στην κύρια μελέτη, το Fabrazyme πέτυχε ιδιαίτερα σημαντική και σχεδόν πλήρη κάθαρση του GL-3 από τα κύτταρα του νεφρού μετά από 20 εβδομάδες θεραπείας: το 69% των ασθενών που ακολούθησαν αγωγή με το Fabrazyme είχαν τα καλύτερα αποτελέσματα όσον αφορά την κάθαρση, κάτι που δεν συνέβη με κανέναν από τους ασθενείς από την ομάδα που έλαβε το εικονικό φάρμακο.

Τα παιδιά που έλαβαν Fabrazyme παρουσίασαν επίσης μείωση των επιπέδων GL-3 στο αίμα και όλα τα παιδιά παρουσίασαν φυσιολογικά επίπεδα ύστερα από 20 εβδομάδες αγωγής. Η μείωση αυτή συνοδεύτηκε από βελτίωση των συμπτωμάτων και της ποιότητας ζωής.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Fabrazyme;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Fabrazyme (που εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) προκλήθηκαν από την έγχυση του φαρμάκου και όχι από το ίδιο το φάρμακο. Σε αυτές περιλαμβάνονται πυρετός, ρίγος, πονοκέφαλος, παραισθησία (μη φυσιολογική αίσθηση που μοιάζει με τσίμπημα από βελόνες και καρφίτσες), ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), έμετος και ρίγη. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Fabrazyme περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Fabrazyme δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που ενδέχεται να παρουσιάσουν υπερευαισθησία (αλλεργία) στην αγαλσιδάση βήτα ή σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Fabrazyme?

Η CHMP έκρινε ότι η θεραπεία με Fabrazyme μπορεί να έχει μακροπρόθεσμα κλινικά οφέλη για τους ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο του Fabry. Η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του Fabrazyme υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Λοιπές πληροφορίες για το Fabrazyme

Στις 3 Αυγούστου 2001, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Fabrazyme.

Η πλήρης EPAR του Fabrazyme διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Fabrazyme, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή συμβουλευθείτε τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 02-2013.