



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Replagal

αγαλσιδάση άλφα

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Replagal. 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 Replagal.

Τι είναι το Replagal;

Το Replagal είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία αγαλσιδάση άλφα. Διατίθεται ως πυκνό διάλυμα για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (στάγδην χορήγηση) εντός της φλέβας.

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Replagal;

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

Οι πάσχοντες από τη νόσο του Fabry μπορεί να παρουσιάζουν ευρύ φάσμα ενδείξεων και συμπτωμάτων, περιλαμβανομένων και σοβαρών καταστάσεων, όπως νεφρική ανεπάρκεια, καρδιακά προβλήματα και εγκεφαλικά επεισόδια.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς χρησιμοποιείται το Replagal;

Το Replagal πρέπει να χορηγείται μόνο από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία ασθενών που πάσχουν από τη νόσο του Fabry ή άλλες κληρονομικές μεταβολικές νόσους.



Το Replagal χορηγείται μία φορά κάθε 2 εβδομάδες με έγχυση διάρκειας 40 λεπτών σε δόση 0,2 mg/kg σωματικού βάρους. Το Replagal προορίζεται για μακροχρόνια χρήση.

Πώς δρα το Replagal;

Το Replagal αποτελεί θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης. Η θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης παρέχει στους ασθενείς το ένζυμο που τους λείπει. Το Replagal έχει σχεδιαστεί με στόχο την υποκατάσταση του ανθρώπινου ενζύμου α-γαλακτοσιδάση Α, το οποίο λείπει από τους πάσχοντες από τη νόσο του Fabry. Η δραστική ουσία που περιέχει το Replagal, η α-γαλακτοσιδάση Α είναι αντίγραφο του ανθρώπινου ενζύμου και παράγεται με μία μέθοδο γνωστή ως «τεχνολογία ανασυνδυασμένου DNA», δηλαδή από κύτταρα στα οποία έχει ενσωματωθεί ένα γονίδιο (DNA) το οποίο τα καθιστά ικανά να παράγουν το συγκεκριμένο ένζυμο. Το ένζυμο υποκατάστασης συντελεί στη διάσπαση του Gb3 και το εμποδίζει να συσσωρευτεί στα κύτταρα.

Πώς μελετήθηκε το Replagal;

Το Replagal συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) στο πλαίσιο δύο κύριων μελετών στις οποίες μετείχαν συνολικά 40 άρρενες ασθενείς. Η πρώτη μελέτη μετρήσε την επίδραση του Replagal στον πόνο ενώ η δεύτερη μελέτη μετρήσε την επίδρασή του στη μάζα της αριστερής κοιλίας (καρδιακός μυς), η οποία αποτελεί μέτρο της ποσότητας Gb3 στα καρδιακά κύτταρα. Εξετάστηκε επίσης η επίδραση της χορήγησης των δόσεων σε εβδομαδιαία βάση σε σύγκριση με τη χορήγηση των δόσεων κάθε δύο εβδομάδες. Διεξήχθη επίσης μια συμπληρωματική μελέτη σε 15 θήλεις ασθενείς. Το Replagal αξιολογήθηκε επίσης σε πρόσθετες μελέτες, στις οποίες μετείχαν 38 παιδιά, ηλικίας 7 ετών και άνω.

Ποιο είναι το όφελος του Replagal σύμφωνα με τις μελέτες;

Μετά από 6 μήνες θεραπείας, το Replagal μείωσε σημαντικά τον πόνο των ασθενών σε σύγκριση με το εικονικό φάρμακο. Το Replagal μείωσε τη μάζα της αριστερής κοιλίας κατά 11,5 g μέσο όρο, ενώ οι ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο παρουσίασαν αύξηση της μάζας της αριστερής κοιλίας κατά 21,8 g. Οι επιδράσεις σε θήλεις ασθενείς ήταν συγκρίσιμες με αυτές των αρρένων ασθενών ενώ η χορήγηση των δόσεων σε εβδομαδιαία βάση δεν παρουσίασε πλεονέκτημα σε σύγκριση με το σύνθηδες σχήμα δοσολογίας. Τα παιδιά που έλαβαν Replagal δεν παρουσίασαν μη αναμενόμενη αύξηση της καρδιακής μάζας και τα επίπεδα του Gb3 στο αίμα τους μειώθηκαν.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Replagal;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Replagal (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι αντιδράσεις σε σχέση με την έγχυση, οι οποίες περιλαμβάνουν ρίγη, πονοκέφαλο, ναυτία, πυρεξία (πυρετός), πόνο και ενόχληση, έξαψη και κόπωση (κούραση) ενώ σπανίως είναι σοβαρές. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Replagal περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Replagal;

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

Αρχικά το Replagal εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», λόγω του ότι η νόσος είναι σπάνια και οι πληροφορίες που παρασχέθηκαν τη στιγμή της έγκρισης ήταν περιορισμένες. Η

εταιρεία υπέβαλε τις πρόσθετες πληροφορίες που της ζητήθηκαν και το καθεστώς των «εξαιρετικών περιστάσεων» έληξε στις 20 Ιουλίου 2015.

Λοιπές πληροφορίες για το Replagal

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

Η πλήρης EPAR του Replagal διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Replagal, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 06-2015.