



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Europos santrauka plačiajai visuomenei

---

# Fabrazyme

## agalzidazė beta

Šis dokumentas yra Fabrazyme Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Fabrazyme rinkodaros leidimą ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

### Kas yra Fabrazyme?

Fabrazyme –tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos agalzidazės beta. Gaminami šio vaisto milteliai, iš kurių ruošiamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas.

### Kam vartojamas Fabrazyme?

Fabrazyme skirtas reta įgimta Fabry liga sergantiems pacientams gydyti. Šia liga sergantiems pacientams trūksta fermento, vadinamojo alfa–galaktozidazės A. Paprastai šis fermentas skaido riebalinę medžiagą, vadinamąjį globotriaozilceramidą (GL-3 arba Gb3). Jei šio fermento nėra, GL3 negali būti skaidomas ir kaupiasi ląstelėse, pvz., inkstų ląstelėse.

Fabry liga sergantiems asmenims gali pasireikšti įvairūs požymiai ir simptomai, įskaitant tokias sunkias ligas, kaip inkstų funkcijos nepakankamumas, širdies ligos ir insultas.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

### Kaip vartoti Fabrazyme?

Fabrazyme gali skirti tik gydytojas, turintis Fabry ligos arba kitų įgimtų medžiagų apykaitos ligų gydymo patirties.

Pacientui skiriama 1 mg kilogramui kūno svorio Fabrazyme infuzija kas dvi savaites. Norint išvengti infuzijos šalutinio poveikio, pradinis infuzijos greitis turi būti ne didesnis kaip 0,25 mg/min. (15 mg/valandą). Atliekant kitas infuzijas, infuzijos greitį galima palaipsniui didinti.



Fabrazyme skirtas ilgalaikiam vartojimui. Infuzijos atliekamos ligoninėje, bet jei patvirtinama, kad pacientas infuzijas gerai toleruoja, jas galima atlikti ir namuose.

## **Kaip veikia Fabrazyme?**

Fabrazyme yra fermentų papildymo terapija. Taikant pakaitinę fermentų terapiją, pacientams suteikiamas trūkstamas fermentas. Fabrazyme turi pakeisti žmogaus fermentą, alfa – galaktozidazę A, kurio trūksta Fabry liga sergančių pacientų organizme. Veiklioji Fabrazyme medžiaga, agalzidazė beta, yra žmogaus fermento, kuris gaminamas pagal taip vadinamos „rekombinacijos technologijos“ metodą, kopija. Jį gamina ląstelė, kuriai buvo implantuotas atitinkamas šios veikliosios medžiagos gamybą užtikrinantis genas (DNR). Pakaitinis fermentas padeda skaidyti GL-3 ir neleidžia jam kauptis paciento ląstelėse.

## **Kaip buvo tiriamas Fabrazyme?**

Fabrazyme buvo tiriamas trijuose tyrimuose, kuriuose iš viso dalyvavo 73 suaugę pacientai. Pagrindiniame tyrime, kuriame dalyvavo 58 pacientai, Fabrazyme poveikis lygintas su placebo (gydomojo poveikio neturinčio preparato) poveikiu. Buvo tiriama, koks yra vaisto poveikis GL-3 šalinant iš inkstų. Taip pat buvo tiriamas Fabrazyme poveikis 16 Fabry liga sergančių vaikų nuo aštuonerių iki 16 metų amžiaus.

## **Kokia Fabrazyme nauda nustatyta tyrimuose?**

Pagrindiniame tyrime po 20 gydymo savaičių Fabrazyme vartojusių pacientų inkstų ląstelėse žymiai sumažėjo ir beveik neliko GL-3; 69 proc. Fabrazyme gydytų pacientų pašalintas didžiausias galimas GL-3 kiekis, o tokių pacientų placebo grupėje nebuvo nė vieno.

GL-3 lygis Fabrazyme gydytų vaikų kraujyje taip pat sumažėjo, o po 20 gydymo savaičių GL-3 lygis visų vaikų kraujyje normalizavosi. Gydymas pagerino vaikų sveikatos būklę ir gyvenimo kokybę.

## **Kokia rizika siejama su Fabrazyme vartojimu?**

Daugelį Fabrazyme šalutinių reiškinių (pasireiškusių daugiau kaip 1 pacientui iš 10) sukelia ne vaistas, o infuzija. Pacientams dažniausia pasireiškia karščiavimas, šaltkrėtis, galvos skausmas, parestезija (neįprasti tirpimo ir dilgčiojimo pojūčiai), pykinimas (bloga savijauta), vėmimas, ir šalčio pojūtis. Išsamų visų šalutinių reiškinių, apie kuriuos pranešta gydant Fabrazyme, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Fabrazyme vartoti negalima esant padidėjusiam jautrumui (alergijai) agalzidazei beta arba bet kuriai pagalbinei vaisto medžiagai.

## **Kodėl Fabrazyme buvo patvirtintas?**

CHMP nusprendė, kad Fabry liga sergantiems pacientams gydymas Fabrazyme gali teikti ilgalaikės klinikinės naudos. CHMP nusprendė, kad Fabrazyme teikiama nauda yra didesnė už keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo rinkodaros leidimą.

## **Kita informacija apie Fabrazyme**

Europos Komisija 2001 m. rugpjūčio 3 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Fabrazyme rinkodaros leidimą.

Išsamų Fabrazyme EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Daugiau informacijos apie gydymą Fabrazyme rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2013-02.