



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/005618

Elfabrio (*alfapegunigalsidaas*)

Lihtne ülevaade ravimist Elfabrio ja miks anti sellele ELis müügiluba

Mis on Elfabrio ja milleks seda kasutatakse?

Elfabrio on ravim, mida kasutatakse haruldase päriliku haiguse Fabry tõve raviks täiskasvanutel. Fabry tõvega patsientidel ei ole piisavalt ensüümi alfa-galaktosidaas A, mis tavaliselt lagundab rasvainet globotriaosüülteramiidi (Gb3). Kui see ensüüm puudub, ei saa organism lagundada globotriaosüülkeramiidi ja see koguneb elunditesse, näiteks neerudesse ja südamesse, põhjustades neerupuudulikkust ja südameprobleeme.

Elfabrio sisaldab toimeainet alfapegunigalsidaasi.

Kuidas Elfabriot kasutatakse?

Elfabrio on retseptiravim ja ravi peab toimuma Fabry tõve ravis kogenud arsti järelevalve all.

Elfabriot turustatakse veeniinfusioonina, mida manustatakse üks kord iga kahe või nelja nädala järel. Ravim on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks. Kõiki patsiente jälgitakse reaktsioonide suhtes infusiooni ajal ja vähemalt 1–2 tundi pärast infusiooni. Infusioonireaktsioonide riski vähendamiseks võidakse patsientidele anda enne ravi Elfabrioga või ravi ajal muid ravimeid, samuti võidakse infusiooni aeglustada. Infusioone manustatakse haiglas, kuid neid võib manustada kodus, kui patsient talub infusioone hästi.

Lisateavet Elfabrio kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Elfabrio toimib?

Elfabrio on ensüümasendusravim. Ensüümasendusravis manustatakse patsiendile puuduvat ensüümi. Elfabrio on kavandatud asendama inimensüümi alfa-galaktosidaas A, mis Fabry tõvega patsientidel puudub. Elfabrio toimeaine alfapegunigalsidaas on inimensüümi koopia, mida valmistatakse rekombinant-DNA-tehnika abil: seda toodavad rakud, millele on lisatud ensüümi teket võimaldav geen (DNA). Asendusensüüm aitab lagundada Gb-3-d ja peatab selle kogunemise patsiendi rakkudes.

Mis on uuringute põhjal Elfabrio kasulikkus?

Elfabrio kasulikkust hinnati ühes põhiuuringus, milles osales 78 Fabry tõvega patsienti. Uuringus võrreldi Elfabriot Fabrazymega, mis on samuti Fabry tõvega patsientide ensüümasendusravi.

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



Efektiivsuse põhinäitaja oli glomerulaarfiltratsiooni kiirus (GFR; näitab, kui hästi neerud töötavad), mis väheneb patsiendi neerufunktsiooni halvenedes. Keskmine GFR vähenes pärast 12- ja 24-kuulist ravi Elfabrioga 2,5 ml/min/1,73 m² võrra aastas ning Fabrazymet saanud patsientidel 1,7 ml/min/1,73 m² ja 2,2 ml/min/1,73 m² võrra. Toetavate andmete järgi vähenes Elfabrioga ravitud patsientide neerudes ja veres oluliselt Gb3 sisaldus.

Elfabrioga tehtud uuringuid kirjeldatakse üksikasjalikult ravimi hindamisaruannetes.

Mis on Elfabrio kõrvalnähud ja piirangud?

Elfabrio kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Elfabrio kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on näiteks infusiooniga seotud reaktsioonid, iiveldus, astenia (nõrkus) ja peavalu.

Elfabriot saavatel inimestel võivad tekkida allergilised reaktsioonid, näiteks hingamisteede lihaste liigne ja pikaajaline kokkutõmbumine, mis põhjustab hingamisraskusi (bronhospasm).

Miks Elfabrio ELis heaks kiideti?

Amet leidis, et Elfabrio efektiivsust toetas toimeaine olemus, eelkõige see, et see on loodusliku ensüümi pegüleeritud vorm, ning samuti ensüümasendusravi hästi tõestatud toimemehhanism Fabry tõve ravis. Põhiuuringu tulemused tõendasid, et Elfabrioga ravitud patsientidel vähenes Gb3 sisaldus neerudes ja veres oluliselt. Uuringu ülesehituse piirangute tõttu (sh kaasatud patsientide vähesuse tõttu) ei tõendanud põhiuuringu tulemused veenvalt, et Elfabrio oli vähemalt sama efektiivne kui Fabrazyme.

Lisaks peetakse Elfabrio kõrvalnähte, mis on peamiselt seotud infusiooniga, hallatavaks. Euroopa Ravimiamet otsustas, et Elfabrio kasulikkus on suurem kui selle riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Kuidas tagatakse Elfabrio ohutu ja efektiivne kasutamine?

Elfabrio turustaja annab patsientidele või nende hooldajatele ja tervishoiutöötajatele teabematerjalid, milles selgitatakse, kuidas kasutada ravimit kodus õigesti.

Elfabrio ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Elfabrio kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Elfabrio oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Elfabrio kohta

Elfabrio on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 4. mail 2023.

Lisateave Elfabrio kohta, sealhulgas pakendi infoleht ja hindamisaruanne, on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Kui soovite teada, kas seda ravimit turustatakse teie riigis, võtke ühendust [riikliku pädeva asutusega](#).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 03-2026.