



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Fabrazyme

beeta-agalsidaas

See on ravimi Fabrazyme Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloa andmist; samuti esitatakse komitee soovitused, kuidas ravimit kasutada.

Mis on Fabrazyme?

Fabrazyme on ravim, mis sisaldab toimeainet beeta-agalsidaasi. Seda turustatakse pulbrina, millest valmistatakse infusioonilahus (veeni tilgutatav lahus).

Milleks Fabrazymet kasutatakse?

Fabrazymet kasutatakse haruldase päriliku haigusega Fabry tõvega täiskasvanud patsientide raviks. Fabry tõvega patsientidel on ensüümi alfa-galaktosidaas A vaegus. Normaalselt lõhustab see ensüüm organismis rasvainet globotriaosüültseramiidi (GL-3 või Gb3). Selle ensüümi vaeguse korral ei saa organism ainet GL-3 lõhustada ning see hakkab kogunema rakkudesse, näiteks neerurakkudesse.

Fabry tõvega patsientidel võib esineda mitmesuguseid nähte ja sümptomeid, sealhulgas raskeid seisundeid, näiteks neerupuudulikkust, südameprobleeme ja insulti.

Fabrazyme on retseptiravim.

Kuidas Fabrazymet kasutatakse?

Fabrazymet tohib manustada üksnes Fabry tõve või muude pärilike ainevahetushaigustega patsientide ravis kogenud arst.

Fabrazymet manustatakse veeniinfusioonina annuses 1 mg kehamassi kg kohta üks kord iga kahe nädala järel. Vähendamaks infusiooniga kaasnevate kõrvalnähtude ilmnemise riski ei tohi infusiooni kiirus olla esialgu suurem kui 0,25 mg/min (15 mg/h). Järgmiste infusioonide ajal võib infusiooni kiirust järk-järgult tõsta.



Fabrazyme on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks. Infusioone tehakse haiglas, kuid neid tohib teha ka kodus, kui patsient talub infusioone hästi.

Kuidas Fabrazyme toimib?

Fabrazyme on ette nähtud ensüümasendusraviks. Ensüümasendusravi on ravi, kus manustatakse patsiendile puuduvat ensüümi. Fabrazyme on ette nähtud asendama inimensüümi alfa-galaktosidaas A-d, mis Fabry tõvega patsientidel puudub. Fabrazyme toimeaine beeta-agalsidaas on inimensüümi koopia, mida valmistatakse rekombinant-DNA-tehnika abil: seda toodab rakk, millele on lisatud ensüümi teket võimaldav geen (DNA). Asendusensüüm aitab lagundada ainet GL-3 ning peatab selle kogunemise rakkudesse.

Kuidas Fabrazymet uuriti?

Fabrazymet uuriti kolmes uuringus, milles osales kokku 73 täiskasvanut. Põhiuuringus, milles osales 58 patsienti, võrreldi Fabrazymet platseeboga (näiv ravim) ning mõõdeti selle toimet GL-3 sisalduse vähendamisel neerudes. Fabrazyme efektiivsust uuriti ka 16 Fabry tõvega lapsel vanuses 8–16 eluaastat.

Milles seisneb uuringute põhjal Fabrazyme kasulikkus?

Põhiuuringus oli pärast 20-nädalast ravi GL-3 sisaldus patsientide neerurakkudes Fabrazyme toime oluliselt vähenenud või tühine: Parima kliirensi näitajaga patsiente oli Fabrazyme rühmas 69% ja platseeborühmas mitte ühtegi.

GL-3 sisaldus veres vähenes ka Fabrazymega ravitud lastel: pärast 20-nädalast ravi oli kõigi laste GL-3 sisaldus normaalne. Sellega kaasnes sümptomite leevenemine ning elukvaliteedi paranemine.

Mis riskid Fabrazymega kaasnevad?

Fabrazyme kõige sagedamaid kõrvalnähte (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) põhjustab pigem infusioon kui ravim. Kõrvalnähtud on muu hulgas palavik, külmavärinad, peavalu, paresteesia (naha väärastungud), iiveldus, oksendamine, õhetus ja külmatunne. Fabrazyme kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Fabrazymet ei tohi kasutada patsiendid, kes on beeta-agalsidaasi või selle ravimi mis tahes muu koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised).

Miks Fabrazyme heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et ravi Fabrazymega võib olla Fabry tõvega patsientidele kliiniliselt pikaajaliselt kasulik. Inimravimite komitee otsustas, et Fabrazyme kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas anda ravimi müügiloa.

Muu teave Fabrazyme kohta

Euroopa Komisjon andis Fabrazyme müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 3. augustil 2001.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Fabrazyme kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Kui vajate Fabrazymega toimuva ravi kohta lisateavet, lugege pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 02-2013.