

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

Kokkuvõte üldsusele

Replagal

alfa-agalsidaas

See on ravimi Replagal 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 Replagal?

Replagal on ravim, mis sisaldab toimeainena alfa-agalsidaasi. Seda turustatakse kontsentraadina, millest valmistatakse infusioonilahus (veeni tilgutatav lahus).

Milleks Replagali kasutatakse?

Replagali kasutatakse haruldase päriliku haiguse Fabry tõvega patsientide raviks. Fabry tõvega patsientidel on ensüümi alfa-galaktosidaasi vaegus. See ensüüm lõhustab organismis tavaliselt rasvainet globotriaosüülkeramiidi (Gb3 või GL-3). Selle ensüümi puuduse korral ei saa organism globotriaosüülkeramiidi lõhustada ning see hakkab kogunema rakkudesse, näiteks neerurakkudesse.

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

Replagal on retseptiravim.

Kuidas Replagali kasutatakse?

Replagali tohib manustada üksnes Fabry tõve või muude pärilike ainevahetushäiretega patsientide ravis kogenud arst.

Replagali manustatakse iga kahe nädala tagant 40 minutit kestva infusioonina annuses 0,2 mg kehakaalu kg kohta. Ravim on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks.

Kuidas Replagal toimib?

Replagali kasutatakse ensüümasendusraviks. Ensüümasendusravi käigus manustatakse patsiendile puuduvat ensüümi. Replagal on ette nähtud asendama inimese ensüümi alfa-galaktosidaasi A, mis Fabry tõvega patsientidel napib. Replagali toimeaine alfa-agalsidaas on inimese ensüümi koopia, mida valmistatakse rekombinant-DNA-tehnika abil: seda toodavad rakud, millele on lisatud ensüümi teket võimaldav geen (DNA). Asendusensüüm aitab globotriaosüülkeramiidi lagundada ning peatab selle kogunemise rakkudes.

Kuidas Replagali uuriti?

Kahes põhiuuringus (kokku 40 meespatsienti) võrreldi Replagali platseeboga (näiv ravim). Esimeses uuringus mõõdeti Replagali toimet valule ning teises uuriti ravimi mõju südame vasaku vatsakese (südamelihase) massile, mis võimaldab mõõta globotriaosüülkeramiidi kogust südamerakkudes. Uuriti ka seda, milline mõju on ravimi manustamisel igal nädalal võrreldes selle manustamisega iga kahe nädala järel. Viidi läbi täiendav uuring 15 naissoost patsiendiga. Replagali hinnati veel lisauuringutes, milles osales 38 vähemalt 7aastast last.

Milles seisneb uuringute põhjal Replagali kasulikkus?

Kuuekuulise Replagal-ravi järel vähenes patsientidel valu võrreldes platseebot saanutega oluliselt. Replagal vähendas vasaku vatsakese massi keskmiselt 11,5 g, samas kui platseebot saanud patsientide vasaku vatsakese mass suurenes 21,8 g. Toime naispatsientidel oli võrreldav meespatsientide tulemustega ning ravimi iganädalane manustamine ei näidanud eelist võrreldes standardrežiimiga. Replagaliga ravitud lastel ei täheldatud südame massi ootamatut suurenemist ning globotriaosüülkeramiidi sisaldus nende veres oli langenud.

Mis riskid Replagaliga kaasnevad?

Replagali kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on tingitud infusioonist. Need on külmavärinad, peavalu, iiveldus, palavik, valu ja ebamugavustunne, õhetus ja väsimus ning need on harva rasked. Replagali kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Replagal heaks kiideti?

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

Eialgu kiideti Replagal heaks erandkorras, sest haigus esineb harva ja ravimi heakskiitmise ajal ei olnud piisavalt teavet. Et ettevõtte esitas vajaliku lisateabe, tühistati müügiloa erandkorras väljastatus 20. juulil 2015.

Muu teave Replagali kohta

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

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Replagali kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Kui vajate Replagaliga toimuvat ravi

kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 06-2015.