



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240096/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidaasi alfa*)

Yleistiedot Elfabriosta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Elfabrio on ja mihin sitä käytetään?

Elfabrio on aikuispotilaille tarkoitettu lääke, jolla hoidetaan harvinaista perinnöllistä Fabryn tautia. Fabryn tautia sairastavilla ei ole riittävästi alfagalaktosidaasi A -entsyymiä, joka normaalisti pilkkoo globotriaosyylikeramidi-nimistä (Gb3) rasva-ainetta. Jos entsyymiä ei ole, Gb3 ei pilkkoudu, ja sitä kertyy elimiin, kuten munuaisiin ja sydämeen, mikä aiheuttaa munuaisten vajaatoiminnan ja sydänongelmia.

Elfabrion vaikuttava aine on pegunigalsidaasi alfa.

Miten Elfabriota käytetään?

Elfabriota saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoito on annettava Fabryn taudin hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Elfabrio on saatavana infuusiona (tiputuksena) laskimoon. Infuusio annetaan kerran kahdessa viikossa. Valmiste on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön. Kaikkia potilaita seurataan mahdollisten reaktioiden varalta infuusion aikana sekä vähintään 1–2 tuntia sen jälkeen. Jotta vähennettäisiin riskiä infuusioon liittyvistä reaktioista, potilaille voidaan antaa muita lääkkeitä ennen Elfabrio-hoitoa tai sen aikana tai infuusiota voidaan hidastaa. Infuusiota annetaan sairaalassa, mutta ne voidaan antaa kotona, jos potilas sietää infuusioita hyvin.

Lisätietoja Elfabrion käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Elfabrio vaikuttaa?

Elfabrio on entsyymikorvaushoito. Tällaisessa hoidossa potilaalle annetaan häneltä puuttuvaa entsyymiä. Elfabrio on suunniteltu korvaamaan ihmisen alfagalaktosidaasi A -entsyymi, joka puuttuu Fabryn tautia sairastavilta potilailta. Elfabrion vaikuttava aine pegunigalsidaasi alfa on ihmisen entsyymistä tehty kopio, jota on tuotettu nk. yhdistelmä-DNA-tekniikalla: sitä tuottavat solut, jotka ovat saaneet geenin (DNA), joka saa ne tuottamaan tätä entsyymiä. Korvaava entsyymi auttaa hajottamaan Gb3:a ja estää sen kertymisen potilaan soluihin.



Mitä hyötyä Elfabriosta on havaittu tutkimuksissa?

Elfabrian hyötyjä arvioitiin yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 78 Fabryn tautia sairastavaa potilasta. Tutkimuksessa Elfabriota verrattiin Fabrazymeen, joka on toinen entsyymikorvaushoito Fabryn tautia sairastavien potilaiden hoitoon. Tehon pääasiallinen mitta perustui glomerulusten suodatusnopeuteen (GFR, mittaa munuaisten toimintaa), joka pienenee, kun potilaan munuaisten toiminta heikkenee. Keskimääräinen GFR laski 2,5 ml/min/1,73 m² vuodessa sekä 12 että 24 kuukauden Elfabrio-hoidon jälkeen, kun Fabrazyme-hoitoa saaneilla vastaavat luvut olivat 1,7 ml/min/1,73 m² ja 2,2 ml/min/1,73 m². Tuloksia tukevat tiedot osoittivat, että Elfabriolla hoidettujen potilaiden munuaisten ja veren Gb3-pitoisuus pieneni merkittävästi.

Mitä riskejä Elfabrio on liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Elfabrian haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Elfabrian yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat yliherkkyys (allergiset reaktiot), astenia (voimattomuus) ja infuusioon liittyvät reaktiot.

Elfabriota saavilla henkilöillä voi esiintyä allergisia reaktioita, mukaan lukien hengitysvaikeuksia aiheuttava hengitysilhasten liiallinen ja pitkittynyt supistuminen (bronkospasmi).

Miksi Elfabrio on hyväksytty EU:ssa?

Virasto katsoi, että Elfabrian teho sai tukea vaikuttavan aineen luonteesta, erityisesti siitä, että se on pegyloitu luonnollisen entsyymin muoto, sekä vakiintuneesta entsyymikorvaushoidon vaikutusmekanismista Fabryn taudin hoidossa. Päätutkimuksen tulokset osoittivat, että Elfabriolla hoidettujen potilaiden Gb3-pitoisuus sekä munuaisissa että veressä pieneni merkittävästi. Tutkimusasetelmaan liittyvien rajoitusten vuoksi, esimerkiksi tutkimukseen osallistuneiden potilaiden pienen määrän takia, päätutkimuksen tulokset eivät osoittaneet pitävästi, että Elfabrio oli vähintään yhtä tehokas kuin Fabrazyme.

Lisäksi Elfabrian haittavaikutusten, jotka liittyvät pääasiassa infuusioon, katsotaan olevan hallittavissa. Siksi Euroopan lääkevirasto katsoi, että Elfabrian hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Elfabrian turvallinen ja tehokas käyttö?

Elfabriota markkinoiva yhtiö toimittaa potilaille tai heidän hoitajilleen ja terveydenhuollon ammattilaisille koulutusmateriaalia, jossa on tietoa siitä, miten valmiste annetaan oikein kotona.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Elfabrian käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Muiden lääkkeiden tavoin myös Elfabrian käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Elfabriosta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Elfabriosta

Elfabrio sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 4. toukokuuta 2023.

Lisätietoja Elfabriosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 5–2023.