

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

Julkinen EPAR-yhteenvedo

Fabrazyme

agalsidaasibeeta

Tämä tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR) koskee Fabrazyme-valmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon sekä suositukseen Fabrazymen käytön ehdoista.

Mitä Fabrazyme on?

Fabrazyme on lääke, jonka vaikuttava aine on agalsidaasibeeta. Sitä saa jauheena, josta valmistetaan infuusioliuos (tiputus laskimoon).

Mihin Fabrazyme-valmistetta käytetään?

Fabrazyme-valmistetta käytetään entsyymien korvaushoitoon potilailla, joilla on harvinainen perinnöllinen Fabryn tauti. Fabryn tautia sairastavilla ei ole riittävästi alfa-galaktosidaasi A -entsyymiä, joka normaalisti pilkkoo globotriaosyyleramidi-nimistä (GL-3 tai Gb3) rasva-ainetta. Jos entsyymiä ei ole, GL-3 ei pilkkoudu ja rasva-ainetta kertyy elimistössä soluihin, kuten munuaisen soluihin.

Fabryn tautia sairastavilla voi olla monia erilaisia oireita, mukaan lukien vakavat häiriöt, kuten munuaisten vajaatoiminta, sydänongelmat ja aivohalvaus.

Lääkettä saa vain lääkärin määräyksestä.

Miten Fabrazyme-valmistetta käytetään?

Fabrazyme-valmistetta saa antaa vain lääkäri, jolla on kokemusta Fabryn tautia tai muita perinnöllisiä aineenvaihduntasairauksia sairastavien potilaiden hoidosta.

Fabrazyme-valmistetta annetaan infuusiona 1 mg kehon painokiloa kohti joka toinen viikko. Alkuannoksen infuusionopeus ei saa olla enempää kuin 0,25 mg minuutissa (15 mg tunnissa) infuusion liittyvien sivuvaikutusten riskien vähentämiseksi. Seuraavilla infuusiokerroilla infuusionopeutta voidaan vähitellen lisätä.

Fabrazyme on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön. Infuusiot annetaan sairaalassa mutta voidaan antaa myös kotona, jos potilaan on todettu sietävän infuusioita hyvin.

Miten Fabrazyme vaikuttaa?

Fabrazyme-valmistetta käytetään entsyymien korvaushoitoon. Entsyymikorvaushoidossa potilaalle annetaan häneltä puuttuvaa entsyymiä. Fabrazyme on tarkoitettu korvaamaan ihmisen alfa-galaktosidaasi A -entsyymien, joka puuttuu Fabryn tautia sairastavilta henkilöiltä. Fabrazymen vaikuttava aine agalsidaasibeeta on ihmisen entsyymien kopio, joka valmistetaan yhdistelmä-DNA-tekniikan avulla: sitä tuottaviin soluihin on lisätty geeni (DNA), jonka avulla solut pystyvät tuottamaan tätä entsyymiä. Korvaava entsyymi mahdollistaa GL-3:n pilkkomisen ja estää sen kertymistä potilaan soluihin.

Miten Fabrazyme-valmistetta on tutkittu?

Fabrazyme-valmistetta on tutkittu kolmessa tutkimuksessa, joihin osallistui yhteensä 73 aikuispotilasta. Päättökäytössä Fabrazyme-valmistetta verrattiin lumelääkkeeseen 58 potilaalla. Tutkimuksessa tarkasteltiin lääkkeiden vaikutusta GL-3:n poistumiseen munuaisista. Fabrazymen tehoa on tutkittu myös 16:lla Fabryn tautia sairastavalla 8–16-vuotiaalla lapsella.

Mitä hyötyä Fabrazyme-valmistesta on havaittu tutkimuksissa?

Päättökäytössä Fabrazyme aikaansai erittäin merkitsevän, melkein täydellisen GL-3:n poistuman munuaisten soluista 20 hoitoviikon jälkeen: Fabrazyme-valmistetta saaneiden potilaiden 69 prosentin poistuma-arvot olivat parhaat mahdolliset, kun lumelääkettä saaneilla potilailla poistumaa ei ollut.

Fabrazyme-hoitoa saaneilla lapsilla todettiin myös veren GL-3-arvojen vähenemistä, ja kaikilla tutkimukseen osallistuneilla lapsilla oli normaalit arvot 20 hoitoviikon jälkeen. Tämän seurauksena oireet ja elämänlaatu paranivat.

Mitä riskejä Fabrazymeeseen liittyy?

Fabrazymen yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin 1 potilaalla 10:stä) johtuivat pikemminkin infuusiosta kuin lääkevalmisteesta. Niitä ovat kuume, vilunväristykset, päänsärky, tuntoharhat (poikkeavat tuntemukset, kuten pistely), pahoinvointi, oksentelu ja paleleminen. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Fabrazymen ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Henkilöt, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) agalsidaasibeetalle tai jollekin valmisteen sisältämälle muulle aineelle, eivät saa käyttää Fabrazyme-valmistetta.

Miksi Fabrazyme on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Fabrazyme-hoidosta voi olla pitkäaikaista kliinistä hyötyä Fabryn tautia sairastaville potilaille. Lääkevalmistekomitea katsoi Fabrazymen hyödyn olevan sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Muita tietoja Fabrazyme-valmisteesta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Fabrazymelle 3. elokuuta 2001.

Fabrazyme-valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Lisätietoja

Fabrazyme-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 02-2013.