

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Replagal

agalsidaasi-alfa

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

Mitä Replagal on?

Replagal on lääke, jonka vaikuttava aine on agalsidaasi-alfa. Sitä on saatavilla konsentraattina, josta tehdään infuusioliuos (tiputettavaksi laskimoon).

Mihin Replagalia käytetään?

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

Fabryn tautia sairastavilla voi olla monenlaisia oireita sekä vakavia häiriöitä esim. munuaisten vajaatoimintaa, sydänhäiriöitä ja aivohalvauksia.

Lääkevalmistetta saa vain lääkärin määräyksestä.

Miten Replagalia käytetään?

Vain sellainen lääkäri, jolla on kokemusta Fabryn tautia tai muita perinnöllisiä aineenvaihduntasairauksia sairastavien potilaiden hoidosta, saa antaa Replagalia.

Replagalia annetaan 40 minuutin pituisena infuusiona 0,2 mg painokiloa kohden kerran kahdessa viikossa. Valmiste on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

Miten Replagal vaikuttaa?

Replagalia käytetään entsyymien korvaushoitoon. Entsyymikorvaushoidossa potilaalle annetaan häneltä puuttuvaa entsyymiä. Replagal on suunniteltu korvaamaan ihmisen alfa-galaktosidaasi A -entsyymi, joka puuttuu Fabryn tautia sairastavilta henkilöiltä. Replagalin vaikuttava aine agalsidaasi alfa on ihmisen entsyymistä tehty kopio, jota on tuotettu nk. yhdistelmä-DNA-tekniikalla: sitä tuottavaat solut, jotka ovat saaneet geenin (DNA), joka saa ne tuottamaan tätä entsyymiä. Korvaava entsyymi edesauttaa Gb3:n pilkkoutumista ja ehkäisee aineen kertymistä soluihin.

Miten Replagalia on tutkittu?

Replagalin tehoa on verrattu lumelääkkeeseen kahdessa päätutkimuksessa, joihin osallistui yhteensä 40 miespuolista potilasta. Ensimmäisessä tutkimuksessa mitattiin Replagalin tehoa kipuun, kun taas toisessa tutkimuksessa mitattiin sen vaikutusta vasemman kammion (sydänlihaksen) massaan Gb3:n mittaamiseksi sydänsoluissa. Lisäksi tutkittiin viikon välein annettavien annosten tehoa verrattuna kahden viikon välein annettavien annosten tehoon. Jatkotutkimukseen osallistui myös 15 naispotilasta. Replagalia on arvioitu myös lisätutkimuksissa, joissa oli mukana 38 yli 7-vuotiasta lasta.

Mitä hyötyä Replagalista on havaittu tutkimuksissa?

Kuuden kuukauden jälkeen kivut vähenivät Replagal-hoitoa saaneilla potilailla verrattuna lumelääkettä saaneisiin potilaisiin. Replagal pienensi vasemman kammion massaa keskimäärin 11,5 g, kun taas lumelääkettä saaneilla potilailla vasemman kammion massa suureni 21,8 g. Naispotilaiden kohdalla havaitut vaikutukset olivat verrattavissa miespotilaiden vastaaviin, ja viikoittain annettavista annoksista ei ollut etua vakioannoksiin nähden. Replagalia saaneiden lasten sydänmassa ei suurentunut odottamattomasti, ja Gb3-pitoisuus heidän veressään väheni.

Mitä riskejä Replagaliin liittyy?

Replagalin yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) ovat infuusioon liittyviä reaktioita. Niitä ovat vilunväreet, päänsärky, pahoinvointi, kuume, kipu ja epämukavuuden tunne, punoitus ja väsymys, mutta ne ovat vain harvoin vakavia. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Replagalin ilmoitetuista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Replagal on hyväksytty?

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

Replagal sai alun perin myyntiluvan ns. poikkeuksellisissa olosuhteissa, koska myöntämishetkellä sairaudesta oli käytettävissä vain vähän tietoa sen harvinaisuuden vuoksi. Valmistavan yhtiön toimitettua pyydetty lisätiedot ns. poikkeukselliset olosuhteet päättyivät 20. heinäkuuta 2015.

Muita tietoja Replagalista

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

Replagal-valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan EMAn verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment

[Reports](#). Lisätietoja Replagal-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon) tai lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 06-2015.