



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Résumé EPAR à l'intention du public

Fabrazyme

agalsidase bêta

Ce document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Fabrazyme. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a procédé l'a conduit à rendre un avis favorable à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché et à établir ses recommandations relatives aux conditions d'utilisation de Fabrazyme.

Qu'est-ce que Fabrazyme?

Fabrazyme est un médicament qui contient le principe actif agalsidase bêta. Il est disponible sous forme de poudre destinée à être reconstituée en solution pour perfusion (goutte à goutte dans une veine).

Dans quel cas Fabrazyme est-il utilisé?

Fabrazyme est utilisé dans le traitement des patients atteints de la maladie de Fabry, maladie héréditaire rare. Les patients atteints de la maladie de Fabry présentent un déficit en une enzyme appelée alpha-galactosidase A, qui élimine habituellement une substance grasse appelée globotriaosylcéramide (GL-3 ou Gb3). En l'absence de cette enzyme, le GL-3 n'est pas éliminé et s'accumule dans les cellules de l'organisme, telles que les cellules rénales.

Les personnes atteintes de la maladie de Fabry peuvent présenter toute une série de symptômes et de signes, dont certaines déficiences graves telles que dysfonctionnements rénaux, troubles cardiaques et accidents vasculaires cérébraux.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Comment Fabrazyme est-il utilisé?

Seul un médecin ayant l'expérience de la prise en charge des patients atteints par la maladie de Fabry ou par une autre maladie métabolique héréditaire peut prescrire Fabrazyme.



Fabrazyme est administré une fois toutes les deux semaines, par perfusion à raison de 1 mg par kilogramme de poids corporel. La vitesse de perfusion initiale ne doit pas dépasser 0,25 mg par minute (15 mg par heure) afin de minimiser le risque d'effets indésirables liés à la perfusion. La vitesse de perfusion peut être augmentée progressivement pour les perfusions ultérieures.

Fabrazyme est conçu pour un usage de longue durée. Les perfusions sont administrées à l'hôpital mais elles peuvent être administrées à domicile s'il s'avère que le patient les tolère bien.

Comment Fabrazyme agit-il?

Fabrazyme est un traitement enzymatique substitutif. Les traitements enzymatiques substitutifs permettent d'apporter aux patients l'enzyme qui leur fait défaut. Fabrazyme est conçu pour remplacer l'enzyme humaine alpha-galactosidase A absente chez les patients présentant un diagnostic de la maladie de Fabry. Le principe actif de Fabrazyme est l'agalsidase bêta, une copie de l'enzyme humaine produite selon une méthode connue sous le terme de «technique de l'ADN recombinant»: elle est fabriquée par des cellules ayant reçu un gène (ADN) qui les rend aptes à produire l'enzyme. L'enzyme de substitution permet d'éliminer le GL-3 et empêche son accumulation à l'intérieur des cellules du patient.

Quelles études ont été menées sur Fabrazyme?

Fabrazyme a été examiné dans trois études impliquant un total de 73 adultes. Dans l'étude principale, Fabrazyme a été comparé à un placebo (traitement fictif) chez 58 patients. L'étude a analysé les effets des médicaments sur l'élimination du GL-3 hors du rein. L'efficacité de Fabrazyme a également été testée chez 16 enfants âgés de huit à 16 ans atteints de la maladie de Fabry.

Quel est le bénéfice démontré par Fabrazyme au cours des études?

Dans l'étude principale, Fabrazyme a permis d'obtenir une élimination très significative et presque complète du GL-3 hors des cellules rénales après 20 semaines de traitement: 69% des patients traités par Fabrazyme ont enregistré les meilleurs résultats d'élimination, par rapport à aucun des patients sous placebo.

Les enfants traités par Fabrazyme ont également présenté un abaissement des taux de GL-3 dans le sang, avec un retour à la normale pour tous les enfants après 20 semaines de traitement. Ce retour à la normale était accompagné d'une amélioration des symptômes et d'une amélioration de la qualité de vie.

Quel est le risque associé à l'utilisation de Fabrazyme?

Les effets indésirables les plus fréquemment observés sous Fabrazyme (chez plus d'un patient sur 10) sont provoqués par la perfusion, et non par le médicament. Il s'agit de fièvre, refroidissements, maux de tête, paresthésies (sensations anormales, comme des fourmillements et des picotements), nausées (malaises), vomissements et sensation de froid. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Fabrazyme, voir la notice.

Fabrazyme ne doit pas être utilisé chez les personnes pouvant présenter une hypersensibilité (allergie) à l'agalsidase bêta ou à l'un des autres composants.

Pourquoi Fabrazyme a-t-il été approuvé?

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a décidé que le traitement par Fabrazyme pouvait procurer des bénéfices cliniques à long terme aux patients atteints par la maladie de Fabry. Le CHMP a estimé que les bénéfices de Fabrazyme sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Autres informations relatives à Fabrazyme

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Fabrazyme le 3 août 2001.

L'EPAR complet relatif à Fabrazyme est disponible sur le site web de l'Agence, sous:

ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Pour plus d'informations sur le traitement par Fabrazyme, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 02-2013.