



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240098/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalzidaza alfa*)

Pregled informacija o lijeku Elfabrio i zašto je odobren u EU-u

Što je Elfabrio i za što se koristi?

Elfabrio se koristi u odraslih osoba za liječenje Fabryjeve bolesti, rijetkog nasljednog poremećaja. Bolesnici s Fabryjevom bolešću nemaju dovoljno enzima naziva alfa-galaktozidaza A, koji u normalnim okolnostima razgrađuje masnu tvar globotriaosilceramid (Gb3). Ako taj enzim nije prisutan, Gb3 se ne može razgraditi i nakuplja se u organima, kao što su bubrezi i srce, što uzrokuje zatajenje bubrega i probleme sa srcem.

Elfabrio sadrži djelatnu tvar pegunigalzidaza alfa.

Kako se Elfabrio primjenjuje?

Elfabrio se izdaje samo na recept, a liječenje mora nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju Fabryjeve bolesti.

Lijek Elfabrio dostupan je u obliku infuzije (ukapavanja) u venu koja se primjenjuje jedanput svaka dva tjedna. Namijenjen je za dugotrajnu primjenu. Tijekom infuzije i najmanje jedan do dva sata nakon toga, svi su bolesnici pod nadzorom radi moguće pojave reakcija. Kako bi se smanjio rizik od reakcija povezanih s infuzijom, bolesnicima se mogu dati drugi lijekovi prije ili nakon lijeka Elfabrio ili se infuzija može usporiti. Infuzije se daju u bolnici, ali se mogu davati i kod kuće ako bolesnik dobro podnosi infuzije.

Za više informacija o primjeni lijeka Elfabrio pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Elfabrio?

Elfabrio je enzimska nadomjesna terapija. Tom vrstom terapije bolesnicima se osigurava enzim koji im nedostaje. Lijek Elfabrio primjenjuje se kao zamjena za ljudski enzim alfa-galaktozidaza A koji nedostaje bolesnicima s Fabryjevom bolešću. Djelatna tvar lijeka Elfabrio, pegunigalzidaza alfa, kopija je ljudskog enzima, proizvedena metodom poznatom pod nazivom „tehnologija rekombinantnog DNK”: proizvode ga stanice koje su primile gen (DNK) koji im omogućuje proizvodnju enzima. Zamjenski enzim pomaže u razgradnji tvari Gb3 i zaustavlja njezino nakupljanje u stanicama bolesnika.



Koje su koristi od lijeka Elfabrio **utvrđene** u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Elfabrio ocijenjene su u jednom glavnom ispitivanju kojim je bilo obuhvaćeno 78 bolesnika s Fabryjevom bolešću. U ispitivanju je lijek Elfabrio uspoređen s lijekom Fabrazyme, drugom enzimskom nadomjesnom terapijom koja se koristila za liječenje bolesnika s Fabryjevom bolešću. Glavno mjerilo učinkovitosti temeljilo se na brzini glomerularne filtracije (engl. *glomerular filtration rate*, GFR; mjerilo bubrežne funkcije), koja se smanjuje s pogoršanjem bubrežne funkcije bolesnika. Prosječni GFR smanjio se za 2,5 ml/min/1,73 m² godišnje nakon 12 mjeseci i 24 mjeseca terapije lijekom Elfabrio, u usporedbi s 1,7 ml/min/1,73 m² odnosno 2,2 ml/min/1,73 m² u bolesnika koji su primali Fabrazyme. Dodatni podatci pokazali su značajno smanjenje razine tvari Gb3 u bubrežima i krvi bolesnika koji su primali lijek Elfabrio.

Koji su rizici povezani s lijekom Elfabrio?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Elfabrio potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Elfabrio (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) jesu preosjetljivost (alergijske reakcije), astenija (slabost) i reakcije povezane s infuzijom.

U osoba koje primaju lijek Elfabrio mogu se javiti alergijske reakcije, uključujući pretjerano i dugotrajno stezanje mišića dišnih putova, što uzrokuje otežano disanje (bronhospazam).

Zašto je lijek Elfabrio odobren u EU-u?

Agencija je smatrala da je djelotvornost lijeka Elfabrio potkrijepljena prirodom djelatne tvari, koja je konkretno u pegiliranom obliku prirodnog enzima, kao i ustaljenim mehanizmom djelovanja enzimске nadomjesne terapije u liječenju Fabryjeve bolesti. Rezultati glavnog ispitivanja pokazali su značajno smanjenje razine tvari Gb3 u bubrežima i krvi bolesnika koji su primali lijek Elfabrio. Zbog ograničenja povezanih s ustrojem ispitivanja, među ostalim malog broja uključenih bolesnika, rezultati glavnog ispitivanja nisu nedvojbeno pokazali da je lijek Elfabrio barem jednako učinkovit kao lijek Fabrazyme.

Nadalje, smatra se da je nuspojave lijeka Elfabrio, koje su uglavnom povezane s infuzijom, moguće kontrolirati. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Elfabrio nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i **učinkovita** primjena lijeka Elfabrio?

Tvrtka koja stavlja lijek Elfabrio u promet dostavit će bolesnicima ili njihovim njegovateljima i zdravstvenim radnicima materijale za obuku s informacijama o ispravnoj primjeni lijeka u kućnom okruženju.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Elfabrio nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Elfabrio kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Elfabrio pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Elfabrio

Lijek Elfabrio dobio je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 4. svibnja 2023.

Više informacija o lijeku Elfabrio dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 5. 2023.