



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalzidáz-alfa*)

Az Elfabrio-ra vonatkozó közérthető áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Elfabrio és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Elfabrio felnőtteknél a Fabry-betegség, egy ritka örökletes rendellenesség kezelésére alkalmazott gyógyszer. A Fabry-betegségben szenvedő betegek szervezetében nincsen elegendő alfa-galaktozidáz-A enzim, amely rendes körülmények között lebontja a globotriaoszilceramid (Gb3) nevű zsírsavat. Ha az enzim hiányzik, a Gb3 nem bomlik le, és felhalmozódik a szervekben, például a vesékben és a szívben, ami veseelégtelenséget és szívproblémákat okoz.

Az Elfabrio hatóanyaga a pegunigalzidáz-alfa.

Hogyan kell alkalmazni az Elfabrio-t?

Az Elfabrio csak receptre kapható, és a kezelést a Fabry-betegség kezelésében tapasztalt orvosnak kell felügyelnie.

Az Elfabrio vénás infúzió formájában kapható, amelyet kéthetente vagy négyhetente egyszer kell beadni. A gyógyszer hosszú távú alkalmazásra szolgál. Az esetleges reakciók miatt az infúzió beadása során, valamint azt követően legalább egy-két órán át valamennyi beteget megfigyelés alatt kell tartani. Az infúzióval kapcsolatos reakciók kockázatának csökkentése céljából a betegeknek az Elfabrio-kezelés előtt vagy alatt adhatók más gyógyszerek, illetve az infúzió lassabban is beadható. Az infúziót kórházban adják be, de otthon is beadható, ha a beteg jól tolerálja azt.

Az Elfabrio alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását az Elfabrio?

Az Elfabrio egy enzimpótló terápia. Ez a típusú terápia biztosítja a betegek számára a szervezetükből hiányzó enzimet. Az Elfabrio-t arra fejlesztették ki, hogy pótolja a Fabry-betegségben szenvedő betegeknek hiányzó alfa-galaktozidáz-A elnevezésű humán enzimet. Az Elfabrio hatóanyaga, a pegunigalzidáz-alfa a humán enzim másolata, amelyet a „rekombináns DNS-technológia” néven ismert módszerrel állítanak elő: olyan sejtek termelik, amelyekbe egy olyan gént (DNS-t) juttattak, amelynek

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



hatására azok képessé válnak az enzim előállítására. A helyettesítő enzim segíti a Gb3 lebontását, és megakadályozza annak a beteg sejtjeiben történő felhalmozódását.

Milyen előnyei voltak az Elfabrio alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Elfabrio előnyeit egy fő vizsgálatban értékelték, amelyben 78, Fabry-betegségben szenvedő beteg vett részt. A vizsgálatban az Elfabrio-t Fabrazyme-mel, egy másik, Fabry-betegségben szenvedő betegek kezelésére alkalmazott enzimpótló terápiával hasonlították össze. A hatásosság fő mutatója a glomeruláris filtrációs rátán (GFR; a vesék működését jellemző mérőszám) alapult, amely a beteg vesefunkciójának romlásával párhuzamosan csökken. Az átlagos GFR mind a 12, mind a 24 hónapos Elfabrio-kezelést követően évente 2,5 ml/perc/1,73 m²-rel csökkent, szemben a Fabrazyme-mel kezelt betegeknél mért 1,7 ml/perc/1,73 m² és 2,2 ml/perc/1,73 m² értékkel. Az alátámasztó adatok az Elfabrio-val kezelt betegeknél a Gb3-szint jelentős csökkenését mutatták mind a vesékben, mind pedig a vérben.

Az Elfabrio-val végzett vizsgálatok részletesebb leírása a gyógyszer értékelő jelentéseiben található.

Milyen mellékhatásokkal és korlátozásokkal jár az Elfabrio alkalmazása?

Az Elfabrio alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Elfabrio leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) az infúzióval összefüggő reakciók, a hányinger, a gyengeség és a fejfájás.

Az Elfabrio-val kezelt betegeknél allergiás reakciók léphetnek fel, beleértve a légúti izmok túlzott és tartós összehúzódását, ami légzési nehézséget (bronchospasmus) okoz.

Miért engedélyezték az Elfabrio forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Ügynökség úgy vélte, hogy az Elfabrio hatásosságát a hatóanyag jellege – konkrétan az, hogy az a természetes eredetű enzim pegilált formája –, valamint a Fabry-betegség kezelésében az enzimpótló terápia jól megalapozott hatásmechanizmusa is alátámasztja. A fő vizsgálat eredményei az Elfabrio-val kezelt betegeknél a Gb3-szint jelentős csökkenését mutatták mind a vesékben, mind pedig a vérben. A vizsgálat kialakításának korlátai – köztük a vizsgálatba bevont betegek kis száma – miatt a fő vizsgálat eredményei nem igazolták egyértelműen, hogy az Elfabrio legalább olyan hatékony, mint a Fabrazyme.

Továbbá az Elfabrio mellékhatásai, amelyek főként az infúzióval kapcsolatosak, kezelhetőnek tekinthetők. Az Európai Gyógyszerügynökség ezért megállapította, hogy az Elfabrio alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, így a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Elfabrio biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Elfabrio-t forgalmazó vállalat oktatóanyagokat fog biztosítani a betegek, illetve gondozóik, valamint az egészségügyi szakemberek számára, amelyek a gyógyszer otthoni környezetben történő helyes beadásának módját ismertetik.

Az Elfabrio biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Elfabrio alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Elfabrio alkalmazásával összefüggésben jelentett

feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Elfabrio-val kapcsolatos egyéb információ

2023. május 4-én az Elfabrio az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

Az Elfabrio-val kapcsolatban további információ, a betegtájékoztatót és az értékelő jelentést is beleértve, az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Amennyiben tájékozódni szeretne arról, hogy a gyógyszer elérhető-e az Ön országában, vegye fel a kapcsolatot az [illetékes nemzeti hatósággal](#).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 03-2026.