

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Replagal

alfa-agalzidáz

Ez a Replagal-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az Invega alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Replagal?

A Replagal egy alfa-agalzidáz nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Oldatos infúzió készítésére alkalmas koncentrátum formájában kapható.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Replagal?

A Replagal-t a Fabry-kórban, egy ritka örökletes betegségben szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák. A Fabry-kórban szenvedő betegek szervezetében nincsen elegendő alfa-galaktozidáz A enzim, amely rendes körülmények között lebontja a globotriaoszil-ceramid (Gb3 vagy GL-3) nevű zsíros anyagot. Ha az enzim hiányzik, a Gb3 nem képes lebomlani, és felhalmozódik a szervezet sejtjeiben, például a vesesejtekben.

A Fabry-kórban szenvedő betegeknél sokféle tünet jelentkezhet, köztük olyan súlyos állapotok is, mint a veseelégtelenség, szívproblémák és sztrók.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Replagalt?

A Replagal-t csak a Fabry-kór vagy más örökletes anyagcsere-betegségek kezelésében jártas orvos adhatja be.

A Replagal-t kéthetente egyszer, 0,2 mg/testsúly kg adagban, 40 percig tartó infúzióban kell beadni. A készítmény hosszú távú alkalmazásra szolgál.

Hogyan fejti ki hatását a Replagal?

A Replagal enzimpótló terápia. Az enzimpótló kezelés ellátja a beteget a hiányzó enzimmal. A Replagal-t arra fejlesztették ki, hogy pótolja az alfa-galaktozidáz A elnevezésű humán enzimet, amely a Fabry-kórban szenvedőknél hiányzik. A Replagal hatóanyagát, az alfa-galaktozidázt a „rekombináns DNS-technológia” néven ismert módszerrel állítják elő: sejtek termelik, amelyekbe egy olyan gént (DNS-t) juttattak, amelynek hatására képesek az enzim előállítására. A helyettesítő enzim segít a Gb3 lebontásában és megakadályozza annak felszaporodását a sejtekben.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Replagal-t?

A Replagal-t placebóval hasonlították össze (hatóanyag nélküli kezelés) két fő, összesen 40 férfibeteg bevonásával végzett vizsgálatban. Az első vizsgálat a Replagal fájdalomra gyakorolt hatását mérte, míg a második vizsgálat a balkamra (szívizom) tömegére gyakorolt hatását mérte, ami a szívizomsejtekben található Gb3 mennyiségét méri. Azt is vizsgálták, hogy a kéthetente alkalmazotthoz képest a hetente adagolt gyógyszer milyen hatást vált ki. Egy további vizsgálatot is végeztek 15 női betegen. A Replagal-t további vizsgálatok során 38, hétévesnél idősebb gyermekek bevonásával is tanulmányozták.

Milyen előnyei voltak a Replagal alkalmazásának a vizsgálatok során?

6 hónap kezelés után a Replagal a placebóval összehasonlítva jelentősen csökkentette a fájdalmat a betegeknek. A Replagal-kezelés következtében a balkamra tömege átlagosan 11,5 g-mal csökkent, míg a placebo kezelésben részesült betegekben a balkamra tömege 21,8 g-mal nőtt. A nőbetegeknél mért hatás a férfibetegeknél mérthez hasonló volt, és a heti adagolás nem jelentett előnyt a sztetend adagokhoz képest. A Replagal-lal kezelt gyermekek esetében nem növekedett a szív tömege nem várt mértékben, a vér Gb3-szintje pedig csökkent.

Milyen kockázatokkal jár a Replagal alkalmazása?

A Replagal leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) az infúzióhoz kapcsolódó reakciók. Ezek többek közt a hidegrázás, fejfájás, émelygés, láz, fájdalom és rossz közérzet, bőrpír és a fáradtság, és csak ritkán súlyosak. A Replagal alkalmazásával kapcsolatos összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Replagal forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy a Fabry-kórban szenvedő betegek számára a Replagal-lal történő kezelés hosszú távú klinikai előnyökkel járhat. A CHMP megállapította, hogy a Replagal alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A Replagal-t forgalomba hozatalát eredetileg „kivételes körülmények” között engedélyezték, mivel a betegség ritka, és az engedélyezés időpontjában korlátozott információ állt rendelkezésre. Mivel a vállalat a további szükséges információkat benyújtotta, a „kivételes körülmények” 2015 július 20-án megszűntek.

A Replagal-lal kapcsolatos további információ

2001. augusztus 3-án az Európai Bizottság a Replagal-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Replagal-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Amennyiben a Replagal-lal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 06-2015.