



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidasi alfa*)

Sintesi in linguaggio semplice di Elfabrio e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Elfabrio e per cosa si usa?

Elfabrio è un medicinale usato negli adulti per il trattamento della malattia di Fabry, una rara patologia ereditaria. I pazienti con malattia di Fabry presentano una carenza dell'enzima α -galattosidasi-A, che normalmente provvede alla degradazione di una sostanza grassa denominata globotriaosilceramide (Gb3). In assenza dell'enzima, la Gb3 non può essere degradata e si accumula negli organi, come il rene e il cuore, causando insufficienza della funzione renale e problemi cardiaci.

Elfabrio contiene il principio attivo pegunigalsidasi alfa.

Come si usa Elfabrio?

Elfabrio può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. La terapia deve essere supervisionata da un medico esperto nel trattamento della malattia di Fabry.

Elfabrio è disponibile sotto forma di infusione (flebo) in vena, da somministrare una volta ogni due o quattro settimane, ed è destinato a un utilizzo a lungo termine. Tutti i pazienti vengono monitorati per verificare la comparsa di eventuali reazioni durante l'infusione e per almeno una o due ore dopo. Per ridurre il rischio di reazioni correlate all'infusione, ai pazienti possono essere somministrati altri medicinali prima o durante il trattamento con Elfabrio oppure la durata dell'infusione può essere ridotta. Le infusioni vengono somministrate in un contesto ospedaliero. Tuttavia, se sono ben tollerate dal paziente, possono anche essere effettuate in ambiente domiciliare.

Per maggiori informazioni sull'uso di Elfabrio, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Elfabrio?

Elfabrio è usato come terapia enzimatica sostitutiva. Questo tipo di terapia fornisce ai pazienti l'enzima di cui hanno carenza. Elfabrio è stato sviluppato per sostituire l'enzima α -galattosidasi-A umano, carente nei pazienti con malattia di Fabry. Il principio attivo di Elfabrio, pegunigalsidasi alfa, è una copia dell'enzima umano prodotta con la metodologia denominata "tecnologia del DNA ricombinante", ossia è ottenuta da cellule in cui è stato immesso un gene (DNA) che le rende in grado di produrre

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



l'enzima. L'enzima sostitutivo contribuisce alla degradazione della Gb3 e ne impedisce l'accumulo nelle cellule del paziente.

Quali benefici di Elfabrio sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Elfabrio sono stati valutati in uno studio principale su 78 pazienti con malattia di Fabry. Lo studio ha confrontato Elfabrio con Fabrazyme, un'altra terapia enzimatica sostitutiva utilizzata per il trattamento dei pazienti con malattia di Fabry. La misura principale dell'efficacia era basata sulla velocità di filtrazione glomerulare (GFR, una misura della funzione renale), che diminuisce con il peggiorare della funzione renale del paziente. La GFR media si è ridotta di 2,5 mL/min/1,73 m²/anno dopo sia 12 che 24 mesi di trattamento con Elfabrio, rispetto a 1,7 mL/min/1,73 m² e 2,2 mL/min/1,73 m² nei pazienti trattati con Fabrazyme. Dati di supporto hanno evidenziato una significativa diminuzione dei livelli di Gb3 nei reni e nel sangue dei pazienti trattati con Elfabrio.

Gli studi effettuati con Elfabrio sono descritti più dettagliatamente nelle relazioni di valutazione del medicinale.

Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Elfabrio?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Elfabrio, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Elfabrio (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono reazioni correlate all'infusione, nausea, astenia (debolezza) e cefalea.

Nelle persone trattate con Elfabrio possono manifestarsi reazioni allergiche, tra cui una contrazione eccessiva e prolungata dei muscoli delle vie aeree con conseguente respirazione difficoltosa (broncospasmo).

Perché Elfabrio è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia ha ritenuto che l'efficacia di Elfabrio sia sostenuta dalla natura del principio attivo, in particolare dal fatto che si tratta di una forma pegilata dell'enzima naturale, nonché dal meccanismo d'azione ben consolidato della terapia enzimatica sostitutiva nel trattamento della malattia di Fabry. I risultati dello studio principale hanno evidenziato una significativa diminuzione dei livelli di Gb3 sia nei reni che nel sangue dei pazienti trattati con Elfabrio. A causa di limitazioni a livello della progettazione, tra cui il numero ridotto di pazienti coinvolti, i risultati dello studio principale non hanno dimostrato in modo definitivo che Elfabrio è efficace almeno quanto Fabrazyme.

Inoltre, gli effetti indesiderati di Elfabrio, principalmente correlati all'infusione, sono considerati gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Elfabrio sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Elfabrio?

La ditta che commercializza Elfabrio fornirà ai pazienti o a chi li assiste e agli operatori sanitari materiale informativo su come somministrare correttamente il medicinale in ambiente domiciliare.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Elfabrio sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Elfabrio sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Elfabrio sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

Altre informazioni su Elfabrio

Elfabrio ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 4 maggio 2023.

Ulteriori informazioni su Elfabrio, compresi il foglio illustrativo e la relazione di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'[autorità nazionale competente](#).

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 03-2026.