

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

Riassunto destinato al pubblico

Replagal

agalsidasi alfa

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Replagal. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Invega.

Che cos'è Replagal?

Replagal è un medicinale che contiene il principio attivo agalsidasi alfa. È disponibile sotto forma di concentrato per la preparazione di una soluzione per infusione (flebo in vena).

Per che cosa si usa Replagal?

Replagal è usato per trattare pazienti affetti da malattia di Fabry, una rara patologia ereditaria. I pazienti che soffrono di questa malattia presentano una carenza dell'enzima denominato alfa-galattosidasi A. Tale enzima normalmente scomponere il lipide denominato globotriaosilceramide (Gb3 o GL-3). Se tale enzima è assente, il Gb3 non può essere scomposto e si accumula nelle cellule dell'organismo, per esempio in quelle renali.

I pazienti affetti dalla malattia di Fabry possono presentare un'ampia sintomatologia, che comprende affezioni gravi come insufficienza renale, problemi cardiaci e ictus.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Replagal?

Replagal deve essere somministrato esclusivamente da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti da malattia di Fabry o da altre malattie metaboliche ereditarie.

Replagal è somministrato per infusione alla dose di 0,2 mg per chilogrammo di peso corporeo per 40 minuti ogni due settimane. Il medicinale è destinato a terapie a lungo termine.

Come agisce Replagal?

Replagal è una terapia enzimatica sostitutiva. Tale tipo di terapia fornisce ai pazienti l'enzima di cui sono privi. Replagal è concepito per sostituire l'enzima umano alfa-galattosidasi A, che è assente nelle persone affette da malattia di Fabry. Il principio attivo di Replagal, agalsidasi alfa, è una copia della forma umana dell'enzima prodotta attraverso una metodologia nota come "tecnologia del DNA ricombinante": viene cioè ottenuta da cellule in cui è stato immesso un gene (DNA) che le rende in grado di produrre tale enzima. L'enzima sostitutivo favorisce la scomposizione del Gb3 arrestandone l'accumulo nelle cellule.

Quali studi sono stati effettuati su Replagal?

Replagal è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio) in due studi principali su un totale di 40 pazienti maschi. Il primo studio ha misurato gli effetti di Replagal sul dolore, mentre il secondo ha misurato l'effetto del medicinale sulla massa del ventricolo sinistro (miocardio), che costituisce un'indicazione della quantità di Gb3 nelle cellule cardiache. Anche l'effetto della somministrazione delle dosi a cadenza settimanale piuttosto che ogni due settimane è stato oggetto di studio. Un ulteriore studio è stato svolto su 15 pazienti donne. Replagal, inoltre, è stato valutato in ulteriori studi su 38 bambini di età pari o superiore ai sette anni.

Quali benefici ha mostrato Replagal nel corso degli studi?

Dopo sei mesi di trattamento, Replagal ha ridotto notevolmente il dolore in confronto ai pazienti trattati con placebo. In media, Replagal ha ridotto la massa del ventricolo sinistro di 11,5 g, mentre i pazienti trattati con placebo hanno subito un aumento di 21,8 g. Gli effetti sulle pazienti femmine sono risultati paragonabili a quelli sui pazienti maschi e il dosaggio settimanale non ha presentato vantaggi rispetto alle dosi standard. I bambini trattati con Replagal non hanno avuto aumenti inattesi della massa cardiaca e i livelli di Gb3 nel sangue si sono ridotti.

Qual è il rischio associato a Replagal?

Gli effetti indesiderati più comuni di Replagal (osservati in più di 1 paziente su 10) sono reazioni connesse all'infusione, tra cui brividi, mal di testa, nausea, piressia (febbre), dolore e malessere, arrossamento e affaticamento, e raramente sono gravi. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Replagal e delle relative limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché è stato approvato Replagal?

Il CHMP ha deciso che, per i pazienti affetti dalla malattia di Fabry, il trattamento con Replagal può produrre benefici clinici a lungo termine. Il CHMP ha deciso che i benefici di Replagal sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Inizialmente, Replagal è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché, siccome si tratta di una malattia rara, al momento dell'approvazione erano disponibili informazioni limitate. Dal momento che la ditta aveva fornito le informazioni aggiuntive richieste, la condizione riferita alle "circostanze eccezionali" è stata rimossa in data 11 20 Luglio 2015.

Altre informazioni su Replagal

Il 3 agosto 2001 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Replagal, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Replagal consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Replagal, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 06-2015.