



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/005618

## Elfabrio (*pegunigalsidazė alfa*)

Paprasta kalba parengta Elfabrio apžvalga ir paaiškinimas, kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

### Kas yra Elfabrio ir kam jis vartojamas?

Elfabrio – tai vaistas, kuriuo gydomi suaugusieji, sergantys Fabri (Fabry) liga (reta paveldima liga). Fabri liga sergančių pacientų organizme trūksta fermento alfa-galaktozidazės A, kuris paprastai skaido riebalinę medžiagą globotriaozilkeramidą (Gb3). Nesant šio fermento, neskaidomas Gb3 kaupiasi tokiuose organuose, kaip inkstai ir širdis, dėl to pasireiškia inkstų nepakankamumas ir širdies veiklos sutrikimai.

Elfabrio sudėtyje yra veikliosios medžiagos pegunigalsidazės alfa.

### Kaip vartoti Elfabrio?

Elfabrio galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi prižiūrėti gydytojas, turintis Fabri ligos gydymo patirties.

Elfabrio tiekiamas infuzinio (į veną lašinamo) tirpalo, kuris vartojamas kartą per dvi ar keturias savaites, forma. Šis vaistas skirtas ilgalaikiam vartojimui. Atliekant infuziją ir bent 1–2 valandas po jos stebima, ar pacientams nepasireiškia kokios nors reakcijos. Siekiant sumažinti su infuzija susijusių reakcijų riziką, prieš Elfabrio infuziją arba jos metu pacientams gali būti skiriama kitų vaistų arba infuzija gali būti atliekama lėčiau. Infuzijos atliekamos ligoninėje, bet gali būti atliekamos ir namuose, jei pacientas jas gerai toleruoja.

Daugiau informacijos apie Elfabrio vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

### Kaip veikia Elfabrio?

Elfabrio yra skirtas pakaitinei fermentų terapijai – gydymui, kuris papildo trūkstamo fermento atsargas paciento organizme. Elfabrio pakeičia žmogaus fermentą alfa-galaktozidazę A, kurio trūksta Fabri liga sergančių pacientų organizme. Elfabrio veiklioji medžiaga pegunigalsidazė alfa yra žmogaus fermento kopija, gaminama taikant rekombinantinę DNR technologiją – ją gamina ląstelės, į kurias implantuotas atitinkamas šio fermento gamybą užtikrinantis genas (DNR). Pakaitinis fermentas padeda suskaidyti Gb3 ir neleidžia jam kauptis paciento ląstelėse.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## Kokia Elfabrio nauda nustatyta tyrimų metu?

Elfabrio nauda buvo vertinama atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 78 Fabri liga sergantys pacientai. Atliekant šį tyrimą, Elfabrio poveikis buvo lyginamas su Fabrazyme – kito pakaitinės fermentų terapijos vaisto, kuriuo gydomi Fabri liga sergantys pacientai. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo glomerulų filtracijos greitis (GFG, inkstų funkcijos rodiklis), kuris mažėja blogėjant paciento inkstų funkcijai. Per 12 ir 24 gydymo Elfabrio mėnesius vidutinis GFG sumažėjo 2,5 ml/min/1,73 m<sup>2</sup> per metus, palyginti su 1,7 ml/min/1,73 m<sup>2</sup> ir 2,2 ml/min/1,73 m<sup>2</sup> Fabrazyme vartojusių pacientų grupėje. Papildomi duomenys parodė reikšmingą Gb3 koncentracijos sumažėjimą Elfabrio gydytų pacientų inkstuose ir kraujyje.

Su Elfabrio atlikti tyrimai išsamiau aprašyti vaisto vertinimo protokole.

## Koks yra Elfabrio šalutinis poveikis ir kokie yra jo vartojimo apribojimai?

Išsamų visų Elfabrio šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Elfabrio šalutinis poveikis (galintis pasireikšti rečiau kaip 1 žmogui iš 10) yra su infuzija susijusios reakcijos, pykinimas, astenija (silpnumas) ir galvos skausmas.

Elfabrio gydomiems žmonėms gali pasireikšti alerginės reakcijos, įskaitant stiprų ir ilgalaikį kvėpavimo takų raumenų susitraukimą, apsunkinantį kvėpavimą (bronchų spazmai).

## Kodėl Elfabrio buvo registruotas ES?

Agentūra laikėsi nuomonės, kad Elfabrio veiksmingumą patvirtina veikliosios medžiagos pobūdis, būtent tai, kad ji yra pegiliuota natūralaus fermento forma, taip pat gerai žinomas Fabri ligai gydyti taikomos pakaitinės fermentų terapijos veikimo mechanizmas. Pagrindinio tyrimo rezultatai parodė, kad Gb3 koncentracija pacientų, kurie buvo gydomi Elfabrio, inkstuose ir kraujyje gerokai sumažėjo. Dėl tyrimo modelio trūkumų, taip pat atsižvelgiant į nedidelį jame dalyvavusių pacientų skaičių, pagrindinio tyrimo rezultatai negalėjo patikimai įrodyti, kad Elfabrio yra bent toks pat veiksmingas, kaip Fabrazyme.

Be to, laikomasi nuomonės, kad Elfabrio šalutinį poveikį, kuris daugiausia susijęs su infuzija, galima kontroliuoti. Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Elfabrio nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

## Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Elfabrio vartojimą?

Elfabrio prekiaujanti bendrovė pacientus, jų slaugytojus ir sveikatos priežiūros specialistus aprūpins mokomąja medžiaga, kurioje bus informacija apie tai, kaip šį vaistą tinkamai vartoti namuose.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Elfabrio vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Elfabrio vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Elfabrio šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

## Kita informacija apie Elfabrio

Elfabrio buvo registruotas visoje ES 2023 m. gegužės 4 d.

Daugiau informacijos apie Elfabrio, įskaitant pakuotės lapelį ir vertinimo protokolą, galima rasti Agentūros tinklalapyje adresu: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio).

Norėdami sužinoti, ar šis vaistas prieinamas jūsų šalyje, kreipkitės į savo [nacionalinę kompetentingą instituciją](#).

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2026-03.