



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Replagal

alfa agalzidazė

Šis dokumentas yra Replagal Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Replagal rinkodaros leidimą ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

Kas yra Replagal?

Replagal – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos alfa agalzidazės. Gaminamas šio vaisto koncentratas, iš kurio ruošiamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas.

Kam vartojamas Replagal?

Replagal skirtas reta įgimta Fabry liga sergantiems pacientams gydyti. Šia liga sergantiems pacientams trūksta fermento, vadinamojo alfa-galaktozidazės A. Paprastai šis fermentas skaido riebalinę medžiagą, vadinamąjį globotriaozilceramidą (Gb3 arba GL-3). Jei šio fermento nėra, Gb3 negali būti skaidomas ir kaupiasi ląstelėse, pvz., inkstu.

Fabry liga sergantiems asmenims gali pasireikšti įvairūs požymiai ir simptomai, įskaitant tokias sunkias ligas, kaip inkstų nepakankamumas, širdies sutrikimai ir insultas.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Kaip vartoti Replagal?

Gydymą Replagal turi skirti Fabry ligos ar kitų įgimtų medžiagų apykaitos ligų gydymo patirties turintis gydytojas.

Pacientui kas dvi savaites skiriama 0,2 mg/kg kūno svorio Replagal tirpalo dozė, suleidžiama per 40 minučių. Šis vaistas skirtas ilgalaikiam vartojimui.



Kaip veikia Replagal?

Replagal yra fermentų pakaitinės terapijos preparatas. Taikant pakaitinę fermentų terapiją pacientas gauna trūkstamo fermento. Replagal pakeičia žmogaus fermentą alfa-galaktozidazę A, kurio trūksta Fabry liga sergančių pacientų organizme. Replagal veikioji medžiaga alfa galaktozidazė yra žmogaus fermento, kuris gaminamas pagal rekombinantinės DNR technologijos metodą, kopija. Jį gamina ląstelės, kurioms implantuotas atitinkamas šio fermento gamybą užtikrinantis genas (DNR). Pakaitinis fermentas padeda suskaidyti Gb3 ir neleidžia jam kauptis ląstelėse.

Kaip buvo tiriamas Replagal?

Replagal veiksmingumas buvo lyginamas su placebo (preparato bei veikliosios medžiagos) dviejuose pagrindiniuose tyrimuose su 40 pacientų (vyrų). Pirmame tyrime buvo vertinamas Replagal poveikis skausmui, antrame – kairiojo skilvelio (širdies raumens) masei, kuri rodo Gb3 kiekį širdies ląstelėse. Taip pat buvo vertinamas kas savaitę (vietoje kas dvi savaites) vartojamų dozių poveikis. Atliktas dar vienas tyrimas su 15 pacienčių. Replagal poveikis taip pat buvo vertinamas papildomuose tyrimuose su 38 vaikais nuo 7 metų amžiaus.

Kokia Replagal nauda nustatyta tyrimuose?

Per 6 gydymo mėnesius Replagal daug geriau nei placebo mažino skausmą pacientams. Replagal vartojusių pacientų kairiojo skilvelio masė vidutiniškai sumažėjo 11,5 g, o placebo vartojusių pacientų padidėjo 21,8 g. Vyrų ir moterų tyrimų rezultatai buvo panašūs. Kas savaitę vartojamos dozės nebuvo veiksmingesnės už standartines dozes. Replagal vartojusių vaikų širdies masė netikėtai nepadidėjo, o Gb3 lygis kraujyje sumažėjo.

Kokia rizika siejama su Replagal vartojimu?

Dažniausi Replagal šalutiniai reiškiniai (pasireiškę daugiau kaip 1 pacientui iš 10) yra su infuzija susijusios reakcijos. Pacientams dažniausiai pasireiškia šaltkrėtis, galvos skausmas, pykinimas, karščiavimas, skausmas ir diskomfortas, raudonis ir nuovargis. Šie reiškiniai retai būna sunkūs. Išsamų visų Replagal šalutinių reiškinų ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Replagal buvo patvirtintas?

CHMP nusprendė, kad Fabry liga sergantiems pacientams gydymas Replagal gali teikti ilgalaikės klinikinės naudos. CHMP nusprendė, kad Replagal teikiama nauda yra didesnė už keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo rinkodaros leidimą.

Iš pradžių Replagal rinkodaros leidimas suteiktas išimtinėmis sąlygomis, kadangi dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie šį vaistą. Bendrovei pateikus reikiamą papildomą informaciją, išimtinės sąlygos panaikintos 2015 m. Liepos 20 d.

Kita informacija apie Replagal

Europos Komisija 2001 m. rugpjūčio 3 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Replagal rinkodaros leidimą.

Išsamų Replagal EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Daugiau informacijos apie gydymą Replagal rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2015-06.