



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240102/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*alfa pegunigalzidāze*)

Elfabrio pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Elfabrio* un **kāpēc tās** lieto?

Elfabrio ir zāles, ko lieto, lai pieaugušajiem ārstētu Fābri slimību, kas ir reta iedzimta slimība. Pacienti ar Fābri slimību ir pazemināts enzīma alfa galaktozidāzes A līmenis, kas parasti noārda taukvielu, ko dēvē par globotriaozilkeramīdu (Gb3). Ja organismā trūkst šī enzīma, tad Gb3 netiek noārdīts, un tas uzkrājas orgānos, piemēram, nierēs un sirdī, izraisot nieru mazspēju un sirdsdarbības traucējumus.

Elfabrio satur aktīvo vielu alfa-pegunigalzidāzi.

Kā lieto *Elfabrio*?

Elfabrio var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzrauga ārstam ar pieredzi Fābri slimības ārstēšanā.

Elfabrio ir pieejamas infūzijas (pilienu) veidā vēnā, ko ievada reizi divās nedēļās. Šīs zāles ir paredzētas ilgstošai lietošanai. Infūzijas laikā un vismaz vienu līdz divas stundas pēc tās jānovēro visu pacientu reakcija. Lai mazinātu ar infūziju saistītu reakciju risku, pacientiem var dot citas zāles pirms *Elfabrio* terapijas vai tās laikā, vai arī var palēnināt infūzijas ievadīšanas ātrumu. Infūzijas ievada slimnīcā, taču tās var ievadīt mājas apstākļos, ja pacients labi panes infūzijas.

Papildu informāciju par *Elfabrio* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Elfabrio* darbojas?

Elfabrio ir enzīmu aizstājterapija. Šāda veida terapija pacientiem nodrošina trūkstošo enzīmu. *Elfabrio* ir izstrādātas, lai aizstātu cilvēka enzīmu alfa-galaktozidāzi A, kuras trūkst pacientiem ar Fābri slimību. *Elfabrio* aktīvā viela alfa-pegunigalzidāze ir cilvēka fermenta kopija, kas iegūta ar metodi, ko dēvē par “rekombinanto DNS tehnoloģiju” — to ražo šūnas, kas saņēmušas gēnu (DNS), kurš padara tās spējīgas sintezēt fermentu. Šis enzīma aizstājējs palīdz noārdīt Gb-3 un aptur tā uzkrāšanos pacienta šūnās.



Kādi *Elfabrio* ieguvumi atklāti pētījumos?

Elfabrio sniegtie ieguvumi tika novērtēti vienā pamatpētījumā, iesaistot 78 pacientus ar Fābri slimību. Pētījumā *Elfabrio* tika salīdzinātas ar *Fabrazyme*, kas ir vēl viena enzīmu aizstājterapija, ko lieto Fābri slimības pacientu ārstēšanai. Galvenais efektivitātes rādītājs bija glomerulārās filtrācijas ātrums (GFĀ; rādītājs, cik labi darbojas nieres), kas samazinās, ja pacienta nieru funkcija pasliktinās. Vidējais GFĀ tika samazināts par 2,5 ml/min/1,73 m² gadā pēc 12 un 24 mēnešus ilgas ārstēšanas ar *Elfabrio* salīdzinājumā ar 1,7 ml/min/1,73 m² un 2,2 ml/min/1,73 m² pacientiem, kuri saņēma *Fabrazyme*. Pamatojošie dati liecināja par ievērojamu Gb3 līmeņa pazemināšanos nierēs un asinīs pacientiem, kurus ārstēja ar *Elfabrio*.

Kāds risks pastāv, lietojot *Elfabrio*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Elfabrio*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Elfabrio* blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir paaugstināta jutība (alerģiskas reakcijas), astēnija (vājums) un ar infūziju saistītas reakcijas.

Cilvēkiem, kuri saņem *Elfabrio*, var rasties alerģiskas reakcijas, tostarp pārmērīga un ilgstoša elpošanas ceļu muskuļu saraušanās, kas rada elpošanas grūtības (bronhu spazmas).

Kāpēc *Elfabrio* ir reģistrētas ES?

Aģentūra uzskatīja, ka *Elfabrio* efektivitāti pamato aktīvās vielas īpašības, jo īpaši tas, ka šī viela ir pegilēta dabā sastopamā fermenta forma, kā arī vispāratzīts enzīmu aizstājterapijas darbības mehānisms Fābri slimības ārstēšanā. Pamatpētījuma rezultāti liecināja par ievērojamu Gb3 līmeņa samazinājumu gan nierēs, gan asinīs pacientiem, kurus ārstēja ar *Elfabrio*. Pētījuma plānojuma ierobežojumu dēļ, tostarp mazā iesaistīto pacientu skaita dēļ, pamatpētījuma rezultāti pārliecinoši nepierādīja, ka *Elfabrio* bija vismaz tikpat efektīvas kā *Fabrazyme*.

Turklāt *Elfabrio* blakusparādības, kas galvenokārt ir saistītas ar infūziju, tiek uzskatītas par kontrolējamām. Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Elfabrio*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Elfabrio* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Elfabrio*, pacientiem vai viņu aprūpētājiem un veselības aprūpes speciālistiem izsniegs izglītojošus materiālus ar informāciju par to, kā pareizi ievadīt zāles mājas apstākļos.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Elfabrio* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Elfabrio* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Elfabrio* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita **informācija** par *Elfabrio*

2023. gada 4. maijā *Elfabrio* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Elfabrio* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2023. gada maijā.