



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/65766/2013
EMA/H/C/000370

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Fabrazyme

beta agalzidāze

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Fabrazyme*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *Fabrazyme* lietošanu.

Kas ir *Fabrazyme*?

Fabrazyme ir zāles, kas satur aktīvo vielu beta agalzidāzi. Tās ir pieejamas kā pulveris infūziju (ievadīšanai vēnā pa pilienam) šķīduma pagatavošanai.

Kāpēc lieto *Fabrazyme*?

Fabrazyme lieto pacientu ārstēšanai, kam ir reta iedzimtā slimība – Fabrī slimība. Pacientiem ar Fabrī slimību ir pazemināts enzīma alfa galaktozidāzes A līmenis. Šis enzīms parasti noārda taukvielu, ko dēvē par globotriaozilkeramīdu (GL-3 vai Gb3). Ja organismā nav šā enzīma, GL3 netiek noārdīta un uzkrājas organisma šūnās, piemēram, nieru šūnās.

Cilvēkiem ar Fabrī slimību var būt dažādas pazīmes un simptomi, tostarp tādas smagas slimības kā nieru mazspēja, sirdsdarbības traucējumi un insults.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Fabrazyme*?

Fabrazyme drīkst nozīmēt tikai ārsts, kuram ir pieredze Fabrī slimības vai citu iedzimtu vielmaiņas slimību ārstēšanā.

Fabrazyme ievada infūzijas veidā vienreiz divās nedēļās, zāļu deva ir 1 mg uz 1 ķermeņa svara kilogramu. Sākotnējais infūzijas ātrums nedrīkst pārsniegt 0,25 mg/min (15 mg/stundā), lai mazinātu ar infūziju saistītu blakusparādību risku. Infūzijas ātrumu var pakāpeniski palielināt turpmāko infūziju ievadīšanas laikā.



Fabrazyme ir paredzētas ilgstošai lietošanai. Infūzijas ievada slimnīcā, bet, ja ir pierādīts, ka pacients infūziju labi panes, šīs zāles var ievadīt mājas apstākļos.

Kā *Fabrazyme* darbojas?

Fabrazyme ir enzīmu aizstājterapija. Enzīmu aizstājterapija nodrošina pacientus ar trūkstošo fermentu. *Fabrazyme* ir paredzētas cilvēka enzīma alfa galaktozidāzes A aizstāšanai, kas parasti trūkst Fabri slimības pacientiem. *Fabrazyme* aktīvā viela beta agalzidāze ir cilvēka enzīma kopija, kas iegūta, izmantojot metodi, ko dēvē par "rekombinantās DNS tehnoloģiju": to sintezē šūnas, kas ir saņēmušas gēnu (DNS), līdz ar to iegūstot spēju ražot šo fermentu. Šis fermenta aizstājējs palīdz noārdīt GL -3 un aptur tās uzkrāšanos pacienta šūnās.

Kā noritēja *Fabrazyme* izpēte?

Fabrazyme novērtēja trijos pētījumos, kopumā iekļaujot 73 pieaugušos. Pamatpētījumā iesaistot 58 pacientus, *Fabrazyme* salīdzināja ar placebo (fiktīvu ārstēšanu). Šajā pētījumā novērtēja šo zāļu ietekmi uz GL-3 izvadīšanu no nierēm. *Fabrazyme* iedarbību pārbaudīja arī 16 bērniem ar Fabri slimību vecumā no astoņiem līdz 16 gadiem.

Kādas bija *Fabrazyme* priekšrocības šajos pētījumos?

Pēc 20 ārstēšanas nedēļām ar *Fabrazyme* pamatpētījumā tika novērota ļoti nozīmīga un gandrīz pilnīga GL-3 izvadīšana no nieru šūnām: proti, 69% ar *Fabrazyme* ārstēto pacientu tika novērots visaugstākais izvadīšanas rādītājs, turpretī placebo grupā tādu nebija vispār.

Ar *Fabrazyme* ārstētajiem bērniem arī novēroja GL 3 līmeņa pazemināšanos asinīs, un visiem bērniem pēc 20 ārstēšanas nedēļām tās līmenis bija normas robežās. Rezultātā uzlabojās simptomi un dzīves kvalitāte.

Kāds risks pastāv, lietojot *Fabrazyme*?

Visbiežāk novērotās *Fabrazyme* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) izraisa infūzija, nevis zāles. Šādas blakusparādības ir paaugstināta ķermeņa temperatūra, drebuļi, galvassāpes, parestēzija (neparastas sajūtas, kas atgādina notirpumu), nelaba dūša, vemšana un aukstuma sajūta. Pilns visu *Fabrazyme* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Fabrazyme nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret beta agalzidāzi vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu.

Kāpēc *Fabrazyme* tika apstiprinātas?

CHMP nolēma, ka Fabri slimības pacientiem *Fabrazyme* terapija varētu sniegt klīnisku ieguvumu ilgtermiņā. CHMP nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot *Fabrazyme*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

Cita informācija par *Fabrazyme*

Eiropas Komisija 2001. gada 3. augustā izsniedza *Fabrazyme* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Fabrazyme* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar

Fabrazyme pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir *EPAR* daļa) vai, sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 02.2013.