

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Replagal

alfa agalzidāze

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

Kas ir *Replagal*?

Replagal ir zāles, kas satur aktīvo vielu alfa agalzidāzi. Tās ir pieejamas kā koncentrāts infūziju šķīduma pagatavošanai (ievadīšanai vēnā pa pilienam).

Kāpēc lieto *Replagal*?

Replagal lieto, lai ārstētu pacientus, kam ir reta iedzimtā slimība – Fabrī slimība. Pacienti ar Fabrī slimību ir pazemināts enzīma alfa galaktozidāzes A līmenis. Šis enzīms parasti noārda taukvielu, ko dēvē par globotriaozilkeramīdu (Gb3 vai GL-3). Ja organismā trūkst šī enzīma, tad Gb3 netiek noārdīts, un tas uzkrājas šūnās, piemēram, nieru šūnās.

Pacienti ar diagnosticētu Fabrī slimību ir novērojams plašs pazīmju un simptomu klāsts, ieskaitot tādu smagu stāvokli kā nieru mazspēju, sirds slimības un elpas trūkumu.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Replagal*?

Replagal drīkst izrakstīt tikai ārsts, kam ir pieredze Fabrī slimības vai citu iedzimto vielmaiņas slimību ārstēšanā.

Replagal ievada vienu reizi divās nedēļās infūzijas veidā devā 0,2 mg/kg ķermeņa svara 40 minūšu laikā. Šīs zāles ir paredzētas ilgstošai lietošanai.

Kā *Replagal* darbojas?

Replagal ir enzīmu aizstājterapijas zāles. Enzīmu aizstājējterapija nodrošina pacientiem trūkstošo enzīmu. *Replagal* ir paredzētas cilvēka enzīma alfa galaktozidāzes A aizstāšanai, kas parasti trūkst Fabri slimības pacientiem. *Replagal* aktīvā viela alfa agalzidāze ir cilvēka enzīma kopija, kas ir iegūta ar metodi, ko dēvē par "rekombinantās DNS tehnoloģiju" — to ražo šūnas, kuras saņēmušas gēnu (DNS), kas padara tās spējīgas sintezēt enzīmu. Šis enzīma aizstājējs palīdz noārdīt Gb3 un aptur tā uzkrāšanos pacienta šūnās.

Kā noritēja *Replagal* izpēte?

Replagal salīdzināja ar placebo (fiktīvu ārstēšanu) divos pamatpētījumos, iesaistot kopumā 40 vīriešu kārtas pacientus. Pirmajā pētījumā noskaidroja *Replagal* pretsāpju iedarbību, bet otrajā pētījumā mērīja šo zāļu iedarbību uz kreisā sirds kambara (sirds muskuļa) masu, nosakot Gb3 daudzumu sirds šūnās. Tika arī pētīti rezultāti, ja pacienti uzņēma devas katru nedēļu, vai tikai katru otro nedēļu. Tika veikts papildu pētījums, tajā iesaistot 15 pacientus. *Replagal* arī izvērtēja papildpētījumos, kuros piedalījās 38 bērni vecumā no 7 gadiem.

Kādas bija *Replagal* priekšrocības šajos pētījumos?

Pēc sešu mēnešu ārstēšanas *Replagal* ievērojami mazināja pacientu sāpes, salīdzinot ar rezultātiem placebo grupā. *Replagal* samazināja kreisā sirds kambara masu vidēji par 11,5 g, kamēr placebo saņēmušajiem kreisā sirds kambara masa palielinājās par 21,8 g. Iedarbība uz sievietēm un vīriešiem bija līdzīga un iknedēļas devai nebija priekšrocību salīdzinājumā ar standarta devu. Bērniem, kas saņēma *Replagal*, pēkšņa sirds masas palielināšanās netika novērota, un tika samazināta Gb3 koncentrācija viņu asinīs.

Kāds risks pastāv, lietojot *Replagal*?

Visbiežāk novērotās *Replagal* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir ar infūziju saistītas reakcijas. Tās var būt: drebuļi, galvassāpes, slikta dūša, drudzis, sāpes un diskomforts, pietvīkums un nogurums, un tās reti ir smagas. Pilns visu *Replagal* izraisīto blakusparādību un ierobežojumu saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Kādēļ *Replagal* tika apstiprinātas?

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

Sākotnēji *Replagal* bija reģistrētas "izņēmuma kārtā", jo sakarā ar šīs slimības retumu apstiprināšanas laikā pieejamā informācija bija nepietiekama. Tā kā uzņēmums bija iesniedzis pieprasīto papildinformāciju, "izņēmuma kārtā" tika atcelta 2015. gada 20. Jūlijā.

Cita informācija par *Replagal*

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

Pilns *Replagal* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Replagal* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 06.2015.