



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240103/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidase alfa*)

Ħarsa ġenerali lejn Elfabrio u għalfejn huwa awtorizzat fl-EU

X'inhu Elfabrio u **għal** xiex **jintuża**?

Elfabrio huwa mediċina li tintuża fl-adulti għat-trattament tal-marda ta' Fabry, disturb rari li jintiret. Il-pazjenti bil-marda ta' Fabry ma jkollhomx biżżejjed minn enzima, li tissejjaħ alpha-galactosidase A, li normalment tkisser sustanza xaħmija msejja globotriaosylceramide (Gb3). Jekk l-enzima ma tkunx preżenti, il-Gb3 ma tkunx tista' titkisser u takkumula fl-organi, bħall-kliwi u l-qalb, u b'hekk tikkawża insuffiċjenza tal-kliwi u problemi tal-qalb.

Elfabrio fih is-sustanza attiva pegunigalsidase alfa.

Kif **jintuża** Elfabrio?

Elfabrio jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jiġi ssorveljat minn tabib li jkollu esperjenza fit-trattament tal-marda ta' Fabry.

Elfabrio jiġi bħala infużjoni (dripp) ġo vina, li tingħata darba kull ġimagħtejn. Dan huwa intiż għal użu fit-tul. Il-pazjenti kollha jiġu ssorveljati għal kwalunkwe reazzjoni waqt l-infużjoni u għal mill-anqas siegħa sa sagħtejn wara. Sabiex jitnaqqas ir-riskju ta' reazzjonijiet relatati mal-infużjoni, il-pazjenti jistgħu jingħataw mediċini oħra qabel jew waqt it-trattament b'Elfabrio jew l-infużjoni tista' tittieħed f'hin aktar bil-mod. L-infużjonijiet jingħataw l-isptar iżda jistgħu jingħataw id-dar jekk il-pazjent ikun qed jittollera l-infużjonijiet sew.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Elfabrio, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif **jaħdem** Elfabrio?

Elfabrio huwa terapija ta' sostituzzjoni tal-enzimi. Din it-tip ta' terapija tipprovdi lill-pazjenti l-enzima li m'għandhomx. Elfabrio huwa mfassal biex jissostitwixxi l-enzima umana alfa-galactosidase A, li hija nieqsa f'pazjenti bil-marda ta' Fabry. Is-sustanza attiva f'Elfabrio, il-pegunigalsidase alfa, hija kopja tal-enzima umana, prodotta b'metodu magħruf bħala "teknoloġija tad-DNA rikombinanti": din issir minn ċelluli li jkunu rċewew ġene (DNA), li jagħmilhom kapaċi jipproduċu l-enzima. L-enzima ta' sostituzzjoni tgħin biex titkisser il-Gb-3 u twaqqfha milli takkumula fiċ-ċelluli tal-pazjent.



X'inhuma **I-benefiċċji** ta' Elfabrio li **hargu** mill-istudji?

Il-benefiċċji ta' Elfabrio ġew evalwati fi studju ewlieni wieħed, li kien jinvolvi 78 pazjent bil-marda ta' Fabry. L-istudju qabbel Elfabrio ma' Fabrazyme, terapija oħra ta' sostituzzjoni tal-enzimi użata biex tittratta pazjenti bil-marda ta' Fabry. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien ibbażat fuq ir-rata ta' filtrazzjoni glomerulari (GFR; kejl ta' kemm qed jaħdmu tajjeb il-kliwi), li tonqos hekk kif il-funzjoni tal-kliwi tal-pazjent tmur għall-agħar. Il-GFR medja tnaqqset b' $2.5 \text{ mL/min/1.73m}^2$ fis-sena kemm wara 12-il xahar kif ukoll wara 24 xahar ta' trattament b'Elfabrio meta mqabbla ma' $1.7 \text{ mL/min/1.73m}^2$ u $2.2 \text{ mL/min/1.73m}^2$ f'dawk li rċevew Fabrazyme. *Data* ta' appoġġ uriet tnaqqis sinifikanti fil-livelli tal-Gb3 fil-kliwi u fid-demm ta' pazjenti ttrattati b'Elfabrio.

X'inhuma r-riskji **assoċjati** ma' Elfabrio?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Elfabrio, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Elfabrio (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 10) jinkludu sensitività eċċessiva (reazzjonijiet allergiċi), astenija (dgħjufija) u reazzjonijiet assoċjati mal-infużjoni.

Reazzjonijiet allergiċi, inkluż kontrazzjoni eċċessiva u fit-tul tal-muskoli tal-passaġġi tal-arja li jikkawżaw diffikultà fit-tehid tan-nifs (bronkospazmu), jistgħu jseħħu f'persuni li jkun qad jirċievu Elfabrio.

Għaliex Elfabrio **ġie** awtorizzat fl-UE?

L-Aġenzija kkunsidrat li l-effikaċja ta' Elfabrio kienet appoġġata min-natura tas-sustanza attiva, speċifikament li hija forma pegilata tal-enzima naturali li sseħħ, kif ukoll mill-mekkaniżmu ta' azzjoni stabbilit sew tat-terapija ta' sostituzzjoni tal-enzimi fit-trattament tal-marda ta' Fabry. Ir-riżultati mill-istudju ewlieni wrew tnaqqis sinifikanti fil-livelli tal-Gb3 kemm fil-kliwi kif ukoll fid-demm tal-pazjenti ttrattati b'Elfabrio. Minhabba l-limitazzjonijiet fid-disinn tal-istudju, inkluż in-numru żgħir ta' pazjenti involuti, ir-riżultati tal-istudju ewlieni ma wrewx b'mod konkluziv li Elfabrio kien tal-inqas effettiv daqs Fabrazyme.

Barra minn hekk, l-effetti sekondarji ta' Elfabrio, li huma prinċipalment relatati mal-infużjoni, huma kkunsidrati maniġġabbli. Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Elfabrio huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex **jiġi żgurat l-użu** sigur u effettiv ta' Elfabrio?

Il-kumpanija li tqiegħed Elfabrio fis-suq se tipprovdi materjal edukattiv lill-pazjenti jew lil dawk li jieħdu ħsiebhom u lill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa, b'informazzjoni dwar kif il-prodott għandu jingħata b'mod korrett fid-dar.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Elfabrio.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Elfabrio hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Elfabrio huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni **oħra** dwar Elfabrio

Elfabrio rċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fl-4 ta' Mejju 2023.

Aktar informazzjoni dwar Elfabrio tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'05-2023.