

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Replagal

agalsidaži alfa

Dan id-dokument huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Replagal. Dan jispjega kif il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iwwaluta l-mediċina sabiex wasal għall-opinjoni favorevoli tiegħu li tingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq u r-rakkomandazzjonijiet tiegħu dwar il-kondizzjonijiet ta' użu għal Replagal.

X'inhu Replagal?

Replagal huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva agalsidaži alfa. Jigi f'konċentrat li jingħamel f'soluzzjoni għal infużjoni (dripp) fil-vina.

Għal xiex jintuża Replagal?

Replagal jintuża biex jikkura pazjenti li jbatu mill-marda ta' Fabry, marda rari li tintiret. Il-pazjenti li jbatu bil-marda ta' Fabry ikollhom nuqqas tal-eżima, alfa-galattosidażi A. Din l-eżima normalment tkisser is-sustanza xaħmija msejja globotrijaosilċeramide (Gb3 jew GL-3). Jekk din l-eżima ma tkunx preżenti, il-GL3 ma tkunx tista' titkisser u tingħama' fiċ-ċelloli tal-gisem, bħal dawk tal-kliwi.

Il-persuni li jbatu minn din il-marda jista' jkollhom firxa sħiħa ta' sinjali u sintomi, li jinkludu kundizzjonijiet gravi bħal ħsara fil-kliwi, problemi fil-qalb u attakki ta' puplesija.

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib.

Kif jintuża Replagal?

Replagal għandu jingħata biss minn tabib li jkollu l-esperjenza fil-kura ta' pazjenti bil-marda ta' Fabry jew b'mard metaboliku ieħor li jintiret.

Replagal jingħata darba kull ġimagħtejn bħala infużjoni ta' 0.2 mg/kg tal-piż tal-gisem fuq medda ta' 40 minuta. Huwa intiz għal użu fit-tul.

Kif jaħdem Replagal?

Replagal hu terapija enzimatika sostituttiva. Terapija enzimatika sostituttiva tipprovdi pazjenti bl-enzima li m'għandhomx. Replagal hu maħsub sabiex jissostitwixxi l-enzima umana alfa-galattosidaże A, li hi nieqsa fil-persuni li jbatu mill-marda ta' Fabry. Is-sustanza attiva f'Replagal, l-agalsidaži alfa, hija kopja tal-enzima umana, prodotta b'metodu magħruf bħala 'teknoloġija tad-DNA rikombinanti': dan isir minn ċelloli li jkunu rċevew ġene (DNA), li jagħmilha kapaċi tipproduċi l-enzima. L-enzima sostituttiva tgħin biex jiġi mkisser il-Gb3 u twaqqfu milli jittkattar fiċ-ċelloli.

Kif ġie studjat Replagal?

Replagal tqabbel ma' placebo (kura finta) f'zewġ studji ewlenin li involvew total ta' 40 pazjent maskili. L-ewwel studju kejjel l-effetti ta' Replagal fuq l-uġiġh filwaqt li t-tieni studju kejjel l-effett tiegħu fuq il-massa tal-ventrikolu tax-xellug (muskolu tal-qalb), miżura tal-ammont tal-Gb3 fiċ-ċelloli tal-qalb. L-effett li jingħataw dożi kull ġimgħa minflok kull ġimagħtejn ġie investigat ukoll. Studju ieħor sar fuq 15-il pazjenta femminili. Replagal ġie evalwat ukoll fi studji oħra li involvew 38 tifel u tifla minn 7 snin 'il fuq.

X'benefiċċju wera Replagal matul dawn l-istudji?

Wara 6 xhur ta' kura, Replagal naqqas sinifikattivament l-uġiġh fil-pazjenti meta mqabbel mal-placebo. Replagal naqqas il-massa tal-ventrikolu tax-xellug b' medja ta' 11.5 g filwaqt li l-pazjenti li kienu qed jingħataw placebo kellhom żieda fil-massa tal-ventrikolu tax-xellug ta' 21.8 g. L-effett f'pazjenti femminili tqabbel ma' daww f'pazjenti maskili u d-dożi ta' kull ġimgħa ma kellhomx vantaġġ fuq id-dożi standard. It-tfal li ngħataw Replagal ma kellhomx żieda mhux mistennija fil-massa tal-qalb, u l-livelli ta' Gb3 f'demmhom tnaqqsu.

X'inhum r-riskju assoċjat ma' Replagal?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Replagal (li dehru f'aktar minn pazjent 1 minn 10) huma reazzjonijiet assoċjati mal-infużjoni. Dawn jinkludu tertir, uġiġh ta' ras, nawżja, piressija (deni), uġiġh u skumdità, ħmura u għeja, u rament ikunu gravi. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet kollha b'Replagal, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex ġie approvat Replagal?

Is-CHMP ddeċieda li f'pazjenti morda bil-marda ta' Fabry, il-kura b'Replagal tista' tipprovdi benefiċċji kliniċi fit-tul. Is-CHMP iddeċieda li l-benefiċċji ta' Replagal huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Replagal kien oriġinarjament awtorizzat taħt "ċirkostanzi ta' eċċezzjoni", għaliex minhabba li l-marda hija rari, kien hemm informazzjoni limitata disponibbli fi żmien l-approvazzjoni. Peress li l-kumpanija pprovdiet l-informazzjoni addizzjonali mitluba, iċ-ċirkostanzi ta' eċċezzjoni' tneħħew fl-20 ta' Lulju 2015.

Tagħrif ieħor dwar Replagal

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Replagal valida fl-Unjoni Ewropea kollha fit-3 ta' Awwissu 2001.

L-EPAR s'hih għal Replagal jinstab fis-sit web tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Replagal, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Dan is-sommarju gie aġġornat l-aħħar f'06-2015.