



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240104/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidase alfa*)

Een overzicht van Elfabrio en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Elfabrio en wanneer wordt het voorgeschreven?

Elfabrio is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met de ziekte van Fabry, een zeldzame erfelijke aandoening. Patiënten met de ziekte van Fabry hebben een tekort aan het enzym alfa-galactosidase A, dat er normaliter voor zorgt dat globotriaosylceramide (Gb3), een vetachtige stof, wordt afgebroken. Zonder dit enzym wordt Gb3 niet afgebroken en hoopt het zich op in de organen, zoals de nieren en het hart, waardoor nierfalen en hartproblemen ontstaan.

Elfabrio bevat de werkzame stof pegunigalsidase alfa.

Hoe wordt Elfabrio gebruikt?

Elfabrio is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de behandeling van de ziekte van Fabry.

Elfabrio is verkrijgbaar in de vorm van een infusie (indruppeling) in een ader, die om de twee weken wordt toegediend. Het middel is bedoeld voor langdurig gebruik. Alle patiënten moeten tijdens de infusie en ten minste een tot twee uur daarna op reacties worden gecontroleerd. Om de kans op infusiereacties te verkleinen, mogen de patiënten voor of tijdens de behandeling met Elfabrio andere geneesmiddelen krijgen of mag de infusie langzamer worden toegediend. De infusies worden in het ziekenhuis toegediend, maar kunnen thuis worden gegeven als de patiënt de infusies goed verdraagt.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Elfabrio.

Hoe werkt Elfabrio?

Elfabrio is een enzymvervangende therapie. Bij deze vorm van therapie krijgen patiënten het ontbrekende enzym toegediend. Elfabrio is bedoeld ter vervanging van het menselijke enzym alfa-galactosidase A, dat bij patiënten met de ziekte van Fabry ontbreekt. Pegunigalsidase alfa, de werkzame stof in Elfabrio, is een kopie van het menselijke enzym die wordt vervaardigd met behulp van de zogeheten 'recombinant-DNA-techniek', en wel door cellen waarin een gen (DNA) is ingebracht zodat zij het enzym kunnen aanmaken. Het vervangingsenzym helpt Gb3 af te breken en de ophoping ervan in de cellen van de patiënt tegen te gaan.



Welke voordelen bleek Elfabrio tijdens de studies te hebben?

De voordelen van Elfabrio werden beoordeeld in één hoofdstudie onder 78 patiënten met de ziekte van Fabry. In de studie werd Elfabrio vergeleken met Fabrazyme, een andere enzymvervangende therapie die wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met de ziekte van Fabry. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was gebaseerd op de glomerulaire filtratiesnelheid (GFR, een maatstaf voor de werking van de nieren), die afneemt naarmate de nierfunctie van de patiënt verslechtert. De gemiddelde GFR daalde met 2,5 ml/min/1,73 m² per jaar na zowel 12 als 24 maanden behandeling met Elfabrio, vergeleken met respectievelijk 1,7 ml/min/1,73 m² en 2,2 ml/min/1,73 m² bij degenen die Fabrazyme kregen. Uit ondersteunende gegevens bleek dat de Gb3-concentratie in de nieren en in het bloed van patiënten die met Elfabrio werden behandeld significant was gedaald.

Welke risico's houdt het gebruik van Elfabrio in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor het gebruik van Elfabrio.

De meest voorkomende bijwerkingen van Elfabrio (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn overgevoeligheid (allergische reacties), asthenie (zwakte) en infusiegerelateerde reacties.

Bij personen die Elfabrio krijgen, kunnen allergische reacties optreden, waaronder overmatige en langdurige samentrekking van de luchtwegspieren met ademhalingsproblemen tot gevolg (bronchospasme).

Waarom is Elfabrio geregistreerd in de EU?

Het Geneesmiddelenbureau was van oordeel dat de werkzaamheid van Elfabrio werd onderbouwd door de aard van de werkzame stof, met name door het feit dat het een gepegyleerde vorm van het natuurlijk voorkomende enzym betreft, alsook door het bekende werkingsmechanisme van enzymvervangende therapie bij de behandeling van de ziekte van Fabry. In de hoofdstudie bleek zich een significante daling van de Gb3-concentratie voor te doen in zowel de nieren als in het bloed van patiënten die met Elfabrio werden behandeld. Het feit dat de resultaten van de hoofdstudie geen definitief bewijs hebben opgeleverd dat Elfabrio ten minste even werkzaam was als Fabrazyme, was te wijten aan beperkingen van de studieopzet, waaronder het kleine aantal betrokken patiënten.

Bovendien worden de bijwerkingen van Elfabrio, die voornamelijk verband houden met de infusie, als beheersbaar beschouwd. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Elfabrio groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Elfabrio te waarborgen?

Het bedrijf dat Elfabrio in de handel brengt, zal aan patiënten of hun verzorgers en aan professionele zorgverleners voorlichtingsmateriaal verstrekken met informatie over hoe het product thuis op de juiste wijze kan worden toegediend.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Elfabrio, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Elfabrio continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Elfabrio worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Elfabrio

Op 4 mei 2023 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Elfabrio verleend.

Meer informatie over Elfabrio is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 05-2023.