



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240105/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalzydaza alfa*)

Przegląd wiedzy na temat leku Elfabrio i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Elfabrio i w jakim celu **się** go stosuje

Elfabrio jest lekiem stosowanym u osób dorosłych w leczeniu choroby Fabry'ego, rzadkiej choroby dziedzicznej. U pacjentów z chorobą Fabry'ego występuje niedobór enzymu o nazwie alfa-galaktozydaza A, który zwykle rozkłada substancję tłuszczową zwaną globotriaosyloceramidem (Gb3). W przypadku braku tego enzymu Gb3 nie może być rozkładany i gromadzi się w narządach, takich jak nerki i serce, powodując niewydolność nerek i problemy z sercem.

Substancją czynną zawartą w leku Elfabrio jest pegunigalzydaza alfa.

Jak **stosować** lek Elfabrio

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu choroby Fabry'ego.

Lek Elfabrio jest dostępny w postaci wlewu dożylnego (infuzji), który podaje się raz na dwa tygodnie. Przeznaczony jest do długotrwałego stosowania. Wszyscy pacjenci są obserwowani pod kątem występowania jakichkolwiek reakcji podczas wlewu oraz przez co najmniej 1 do 2 godzin po jego zakończeniu. W celu zmniejszenia ryzyka wystąpienia reakcji na wlew, przed rozpoczęciem lub w trakcie podawania leku Elfabrio pacjenci mogą otrzymać inne leki, bądź też można zwolnić tempo podawania wlewu. Wlewy podaje się w szpitalu, ale można je podawać w domu, jeśli pacjent dobrze je toleruje.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Elfabrio znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak **działa** lek Elfabrio

Elfabrio jest enzymatyczną terapią zastępczą. Ten rodzaj leczenia polega na dostarczeniu pacjentom enzymu, którego im brakuje. Lek Elfabrio ma zastępować ludzki enzym alfa-galaktozydazę A, którego brakuje u pacjentów z chorobą Fabry'ego. Substancja czynna leku Elfabrio, pegunigalzydaza alfa, jest kopią ludzkiego enzymu wytwarzaną metodą zwaną „techniką rekombinacji DNA”: jest produkowana



przez komórki, do których wprowadzono gen (DNA) umożliwiający wytwarzanie tego enzymu. Enzym zastępczy pomaga rozkładać Gb-3 i zapobiega jego gromadzeniu się w komórkach pacjenta.

Korzyści ze stosowania leku Elfabrio wykazane w badaniach

Korzyści ze stosowania leku Elfabrio oceniano w jednym badaniu głównym z udziałem 78 pacjentów z chorobą Fabry'ego. W tym badaniu porównywano lek Elfabrio z lekiem Fabrazyme, innym lekiem stosowanym w ramach enzymatycznej terapii zastępczej w leczeniu pacjentów z chorobą Fabry'ego. Głównym kryterium oceny skuteczności był współczynnik filtracji kłębuszkowej (GFR, parametr oceny pracy nerek), który zmniejsza się w miarę pogorszenia czynności nerek pacjenta. Średnia wartość GFR zmniejszyła się o 2,5 ml/min/1,73 m² rocznie zarówno po 12, jak i po 24 miesiącach stosowania leku Elfabrio w porównaniu z 1,7 ml/min/1,73 m² i 2,2 ml/min/1,73 m² u osób otrzymujących lek Fabrazyme. Dane pomocnicze wykazały istotny spadek stężenia Gb3 w nerkach i we krwi u pacjentów, którym podawano lek Elfabrio.

Ryzyko **związane** ze stosowaniem leku Elfabrio

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Elfabrio znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Elfabrio (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to nadwrażliwość (reakcje alergiczne), astenia (osłabienie) i reakcje związane z wlewem.

U osób otrzymujących lek Elfabrio mogą wystąpić reakcje alergiczne, w tym nadmierny i długotrwały skurcz mięśni dróg oddechowych powodujący trudności z oddychaniem (skurcz oskrzeli).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Elfabrio w UE

Agencja uznała, że skuteczność leku Elfabrio potwierdza charakter substancji czynnej, a w szczególności fakt, że jest to pegylowana postać naturalnie występującego enzymu, jak również ugruntowany mechanizm działania enzymatycznej terapii zastępczej w leczeniu choroby Fabry'ego. Wyniki badania głównego wykazały istotny spadek stężenia Gb3 zarówno w nerkach, jak i we krwi pacjentów przyjmujących lek Elfabrio. Ze względu na ograniczenia planu badania, w tym niewielką liczbę włączonych do niego pacjentów, wyniki badania głównego nie wykazały jednoznacznie, że lek Elfabrio jest co najmniej równie skuteczny, jak lek Fabrazyme.

Ponadto uważa się, że działania niepożądane leku Elfabrio, związane głównie z wlewem dożylnym, są łatwe do opanowania. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Elfabrio przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Elfabrio

Firma, która wprowadza lek Elfabrio do obrotu, udostępni pacjentom lub ich opiekunom oraz personelowi medycznemu materiały edukacyjne zawierające informacje na temat prawidłowego podawania leku w warunkach domowych.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Elfabrio w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Elfabrio są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Elfabrio są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje **dotyczące** leku Elfabrio

Lek Elfabrio otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 4 maja 2023 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Elfabrio znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Data ostatniej aktualizacji: 05.2023 r.