



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Replagal

agalzydaza alfa

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Replagal. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Replagal do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

Co to jest Replagal?

Replagal jest lekiem zawierającym substancję czynną agalzydazę alfa. Lek jest dostępny w postaci koncentratu, z którego sporządza się roztwór do infuzji dożylniej (wlewu dożylnego).

W jakim celu stosuje się produkt Replagal?

Lek Replagal stosuje się w leczeniu pacjentów z chorobą Fabry'ego, rzadkim zaburzeniem dziedzicznym. Pacjenci z chorobą Fabry'ego cierpią na niedobór enzymu zwanego alfa-galaktozydazą A. Zwykle enzym ten rozkłada substancję tłuszczową zwaną globotriaosyloceramidem (Gb3 lub GL-3). W przypadku braku tego enzymu Gb3 nie może ulec rozkładowi, odkładając się w komórkach organizmu, np. w komórkach nerek.

U osób z chorobą Fabry'ego mogą występować różne oznaki i objawy, w tym ciężkie stany, tj. niewydolność nerek, zaburzenia czynności serca i udar.

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak stosować produkt Replagal?

Produkt Replagal powinien podawać jedynie lekarz z doświadczeniem w leczeniu pacjentów z chorobą Fabry'ego lub innymi dziedzicznymi chorobami metabolicznymi.

Lek Replagal podaje się w dawce 0,2 mg na kilogram masy ciała co dwa tygodnie we wlewach trwających 40 minut. Produkt jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.



Jak działa produkt Replagal?

Replagal jest enzymatyczną terapią zastępczą. Enzymatyczna terapia zastępcza dostarcza pacjentom brakujący enzym. Lek Replagal opracowano w celu zastąpienia enzymu ludzkiego, alfa-galaktozydazy A, którego brak u osób z chorobą Fabry'ego. Substancja czynna produktu Replagal, alfa-galaktozydaza, jest kopią enzymu ludzkiego produkowaną metodą zwaną „technologią rekombinacji DNA”: jest ona wytwarzana przez komórki, które otrzymały odpowiedni gen (DNA), umożliwiającą im wytwarzanie tego enzymu. Enzym zastępczy pomaga w rozkładzie Gb3 i hamuje ich rozwój w komórkach.

Jak badano produkt Replagal?

Lek Replagal porównywano z placebo (leczenie pozorowane) w dwóch badaniach głównych z łącznym udziałem 40 pacjentów płci męskiej. W pierwszym badaniu analizowano skutki działania leku Replagal na ból, a w drugim badaniu obserwowano wpływ leku na masę lewej komory (mięsień serca) – miarę ilości Gb3 w komórkach serca. Zbadano również skutek podawania dawek co tydzień zamiast podawania dawek co dwa tygodnie. Dalsze badanie przeprowadzono z udziałem 15 pacjentek. Lek Replagal oceniono również w dodatkowych badaniach z udziałem 38 dzieci w wieku od siedmiu lat.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Replagal zaobserwowano w badaniach?

Po 6 miesiącach leczenia u pacjentów przyjmujących lek Replagal nastąpiło znaczne zmniejszenie bólu, w porównaniu z pacjentami przyjmującymi placebo. Lek Replagal zmniejszył masę lewej komory średnio o 11,5 g, podczas gdy u pacjentów otrzymujących placebo zaobserwowano wzrost masy lewej komory o 21,8 g. Skutki działania leku u pacjentek były porównywalne z wynikami u mężczyzn, a cotygodniowe podawanie dawki nie przyniosło korzyści w porównaniu ze standardowym dawkowaniem. U dzieci, którym podawano lek Replagal nie zaobserwowano nieoczekiwanego zwiększenia masy serca, a poziom Gb3 w krwi uległ zmniejszeniu.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Replagal?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Replagal (obserwowane u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to reakcje związane z wlewem, w tym: dreszcze, ból głowy, mdłości, gorączka, ból i uczucie dyskomfortu, zaczerwienienie i zmęczenie, i rzadko są one poważne. Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu Replagal znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt Replagal?

CHMP uznał, że u pacjentów z chorobą Fabry'ego, leczenie produktem Replagal mogłoby przynieść długoterminowe korzyści kliniczne. CHMP uznał, że korzyści ze stosowania produktu Replagal przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu.

Lek Replagal został początkowo zarejestrowany w wyjątkowych okolicznościach, gdyż ze względu na to, że choroba występuje rzadko, w chwili rejestracji informacje na temat leku były ograniczone. Ponieważ firma dostarczyła dodatkowe wymagane informacje, wyjątkowe okoliczności wygasły w dniu 20 lipca 2015 r.

Inne informacje dotyczące produktu Replagal:

W dniu 3 sierpnia 2001 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Replagal do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Replagal znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Replagal należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 06.2015.