



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240106/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidase alfa*)

Um resumo sobre Elfabrio e por que está autorizado na UE

O que é Elfabrio e para que é utilizado?

Elfabrio é um medicamento utilizado em adultos no tratamento da doença de Fabry, uma doença hereditária rara. Os doentes com doença de Fabry não têm uma quantidade suficiente de uma enzima, denominada alfa-galactosidase A, que normalmente decompõe uma matéria gorda denominada globotriaosilceramida (Gb3). Se a enzima não estiver presente, a Gb3 não pode ser degradada e acumula-se nos órgãos, como os rins e o coração, causando insuficiência renal e problemas cardíacos.

Elfabrio contém a substância ativa pegunigalsidase alfa.

Como se utiliza Elfabrio?

Elfabrio só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento da doença de Fabry.

Elfabrio está disponível na forma de perfusão (infusão endovenosa) numa veia, administrada uma vez de duas em duas semanas. O medicamento destina-se a uso prolongado. Todos os doentes são monitorizados em termos de ocorrência de eventuais reações durante a perfusão e durante, pelo menos, uma a duas horas depois da mesma. Para reduzir o risco de reações relacionadas com a perfusão, podem ser administrados outros medicamentos aos doentes, antes ou durante o tratamento com Elfabrio, ou a taxa de perfusão pode ser diminuída. As perfusões são administradas no hospital, mas podem ser administradas em casa se o doente estiver a tolerar bem as perfusões.

Para mais informações sobre a utilização de Elfabrio, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Elfabrio?

Elfabrio é uma terapêutica de substituição enzimática. Este tipo de terapêutica permite fornecer a enzima que falta ao doente. Elfabrio foi concebido para substituir a enzima humana alfa-galactosidase A, que está ausente nos doentes com doença de Fabry. A substância ativa de Elfabrio, a pegunigalsidase alfa, é uma cópia da enzima humana, produzida por meio de um método denominado «tecnologia de ADN recombinante»: é fabricada por células que receberam um gene (ADN) que as torna capazes de produzir a enzima. A enzima de substituição ajuda a degradar a Gb3, impedindo esta de se depositar nas células do doente.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Quais os benefícios demonstrados por Elfabrio durante os estudos?

Os benefícios de Elfabrio foram avaliados num estudo principal que incluiu 78 doentes com doença de Fabry. O estudo comparou Elfabrio com Fabrazyme, outra terapêutica de substituição enzimática utilizada no tratamento de doentes com a doença de Fabry. O principal parâmetro de eficácia baseou-se na taxa de filtração glomerular (TFG; uma medida do funcionamento dos rins), que diminui à medida que a função renal do doente se agrava. A TFG média diminuiu 2,5 mL/min/1,73 m² por ano após 12 e 24 meses de tratamento com Elfabrio, em comparação com 1,7 mL/min/1,73 m² e 2,2 mL/min/1,73 m² nos doentes que receberam Fabrazyme. Os dados de apoio demonstraram uma diminuição significativa dos níveis de Gb3 nos rins e no sangue dos doentes tratados com Elfabrio.

Quais são os riscos associados a Elfabrio?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Elfabrio, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Elfabrio (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) incluem hipersensibilidade (reações alérgicas), astenia (fraqueza) e reações associadas à perfusão.

Podem ocorrer reações alérgicas, incluindo contração excessiva e prolongada dos músculos das vias aéreas, causando dificuldades respiratórias (brôncoespasmo), em pessoas que recebem Elfabrio.

Por que está autorizado Elfabrio na UE?

A Agência considerou que a eficácia de Elfabrio foi sustentada pela natureza da substância ativa, especificamente por ser uma forma peguizada da enzima de ocorrência natural, e também pelo mecanismo de ação bem estabelecido da terapêutica de substituição enzimática no tratamento da doença de Fabry. Os resultados do estudo principal demonstraram uma diminuição significativa dos níveis de Gb3 tanto nos rins como no sangue dos doentes tratados com Elfabrio. Devido a limitações com o desenho do estudo, incluindo o pequeno número de doentes envolvidos, os resultados do estudo principal não demonstraram de forma conclusiva que Elfabrio foi pelo menos tão eficaz como Fabrazyme.

Além disso, os efeitos secundários de Elfabrio, que estão principalmente relacionados com a perfusão, são considerados controláveis. A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Elfabrio são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Elfabrio?

A empresa que comercializa Elfabrio fornecerá materiais informativos aos doentes ou aos seus prestadores de cuidados e aos profissionais de saúde, com informações sobre como administrar o medicamento corretamente em casa.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Elfabrio.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Elfabrio são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Elfabrio são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Elfabrio

A 4 de maio de 2023, Elfabrio recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre Elfabrio no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 05-2023.