



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/65766/2013  
EMA/H/C/000370

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

# Fabrazyme

## agalsidase beta

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Fabrazyme. O seu objetivo é explicar o modo como o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) avaliou o medicamento a fim de emitir um parecer favorável à concessão de uma autorização de introdução no mercado, bem como as suas recomendações sobre as condições de utilização do Fabrazyme.

### O que é o Fabrazyme?

O Fabrazyme é um medicamento que contém a substância ativa agalsidase beta. Está disponível sob a forma de um pó para solução para perfusão (administração gota a gota numa veia).

### Para que é utilizado o Fabrazyme?

O Fabrazyme é utilizado para o tratamento de doentes com a doença de Fabry, uma doença hereditária rara. Os doentes que sofrem da doença de Fabry não produzem a enzima alfa-galactosidase A em quantidade suficiente. Esta enzima é normalmente responsável pela destruição de uma substância gorda denominada globotriaosilceramida (GL -3 ou Gb3). Se a enzima não estiver presente, a GL -3 não pode ser degradada e acumula-se nas células do organismo como, por exemplo, nas células dos rins.

As pessoas com doença de Fabry podem apresentar uma vasta gama de sinais e sintomas, incluindo doenças graves como falência renal, problemas cardíacos e acidente vascular cerebral.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.



## Como se utiliza o Fabrazyme?

Somente os médicos com experiência no tratamento de doentes com a doença de Fabry ou outras doenças metabólicas hereditárias devem administrar o Fabrazyme.

O Fabrazyme é administrado uma vez de duas em duas semanas sob a forma de uma perfusão intravenosa de 1 mg por quilograma de peso corporal. O ritmo inicial da perfusão não deve exceder 0,25 mg/min (15 mg/hora), a fim de reduzir o risco de efeitos secundários da perfusão. O ritmo de perfusão pode ser aumentado gradualmente, com novas perfusões.

O Fabrazyme destina-se à utilização a longo prazo. As perfusões são administradas no hospital, podendo também sê-lo em casa se tiver sido demonstrado que o doente as tolera bem.

## Como funciona o Fabrazyme?

O Fabrazyme é uma terapêutica de substituição enzimática. As terapêuticas de substituição enzimáticas fornecem aos doentes a enzima que lhes falta. O Fabrazyme substitui a enzima humana alfa-galactosidase A ausente nos doentes com doença de Fabry. A substância ativa do Fabrazyme, a agalsidase beta, é uma cópia da enzima humana, produzida por um método denominado "tecnologia de ADN recombinante": é produzida por células que receberam um gene (ADN) que as torna capaz de produzir a enzima. A enzima de substituição ajuda a degradar a GL-3 e impede-a de se acumular nas células do doente.

## Como foi estudado o Fabrazyme?

O Fabrazyme foi estudado em três estudos, que incluíram um total 73 adultos. No estudo principal, o Fabrazyme foi comparado com um placebo (tratamento simulado) em 58 doentes. O estudo analisou o efeito do medicamento na eliminação da GL-3 do rim. A eficácia do Fabrazyme foi também testada em 16 crianças dos oito aos 16 anos, que sofriam da doença de Fabry.

## Qual o benefício demonstrado pelo Fabrazyme durante os estudos?

No estudo principal, após 20 semanas de tratamento, o Fabrazyme produziu uma eliminação altamente significativa e quase integral da GL-3 das células dos rins, tendo 69% dos doentes tratados com o Fabrazyme apresentado o melhor resultado possível em matéria de eliminação, o que não sucedeu com nenhum dos doentes do grupo tratado com placebo.

Os níveis de GL-3 no sangue também diminuíram nas crianças tratadas com o Fabrazyme, tendo todas as crianças apresentado níveis normais após 20 semanas de tratamento. Este facto foi acompanhado de uma melhoria dos sintomas e da qualidade de vida das crianças.

## Qual é o risco associado ao Fabrazyme?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Fabrazyme (observados em mais de 1 em cada 10 doentes) são provocados mais pela perfusão do que pelo medicamento. Os sintomas incluem febre, arrepios, dores de cabeça, parestesia (sensações anormais, tais como sensação de formigueiro), náusea (má disposição), vômitos e sensação de frio. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Fabrazyme, consulte o Folheto Informativo.

O Fabrazyme é contraindicado em pessoas hipersensíveis (alérgicas) à agalsidase beta ou a qualquer outro componente do medicamento.

## **Por que foi aprovado o Fabrazyme?**

O CHMP concluiu que, para os doentes que sofrem da doença de Fabry, o tratamento com o Fabrazyme poderia ter benefícios clínicos a longo prazo. O CHMP concluiu que os benefícios do Fabrazyme são superiores aos seus riscos e recomendou a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o medicamento.

## **Outras informações sobre o Fabrazyme**

Em 3 de agosto de 2001, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Fabrazyme.

O EPAR completo sobre o Fabrazyme pode ser consultado no sítio internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Fabrazyme, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 02-2013.