



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidază alfa*)

Prezentare generală în limbaj simplu a Elfabrio și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Elfabrio și pentru ce se utilizează?

Elfabrio este un medicament care se utilizează la adulți pentru tratarea bolii Fabry, o boală genetică rară. Pacienții cu boală Fabry nu au o cantitate suficientă de enzimă numită alfa-galactozidază A, care în mod normal descompune o substanță grasă numită globotriaolceramidă (Gb3). În lipsa acestor enzime, Gb3 nu poate fi descompusă și se acumulează în organe, cum ar fi în rinichi și în inimă, cauzând insuficiență renală și probleme cardiace.

Elfabrio conține substanța activă pegunigalsidază alfa.

Cum se utilizează Elfabrio?

Elfabrio se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul bolii Fabry.

Elfabrio este disponibil sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă), care se administrează o dată la două sau patru săptămâni. Este destinat utilizării de lungă durată. Toți pacienții trebuie monitorizați pentru a li se observa reacțiile în timpul perfuziei și cel puțin una până la două ore după aceea. Pentru a reduce riscul de reacții declanșate de perfuzie, pacienților li se pot administra alte medicamente înainte sau în timpul tratamentului cu Elfabrio sau se poate mări timpul de perfuzare. Perfuziile se administrează în spital, dar pot fi administrate la domiciliu dacă pacientul le tolerează bine.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Elfabrio, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Elfabrio?

Elfabrio este o terapie de substituție enzimatică. Prin acest tip de terapie, li se asigură pacienților enzima lipsă. Elfabrio este destinat înlocuirii enzimei umane alfa-galactozidază A, care lipsește la pacienții cu boală Fabry. Substanța activă din Elfabrio, pegunigalsidaza alfa, este o copie a enzimei umane, produsă printr-o metodă numită „tehnologia ADN-ului recombinant”, de celule care au primit o

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



genă (ADN) care le face capabile să producă enzima. Enzima de substituție ajută la descompunerea Gb3 și împiedică acumularea sa în celulele pacientului.

Ce beneficii a prezentat Elfabrio pe parcursul studiilor?

Beneficiile Elfabrio au fost evaluate într-un studiu principal efectuat la 78 de pacienți cu boală Fabry. Studiul a comparat Elfabrio cu Fabrazyme, altă terapie de substituție enzimatică utilizată pentru tratarea pacienților cu boală Fabry. Principala măsură a eficacității s-a bazat pe rata de filtrare glomerulară (RFG; măsură care arată cât de bine funcționează rinichii), care scade pe măsură ce se înrăutățește funcția renală a pacientului. RFG mediu s-a redus cu 2,5 ml/min/1,73 m² pe an după 12 și 24 de luni de tratament cu Elfabrio, față de 1,7 ml/min/1,73 m² și 2,2 ml/min/1,73 m² la cei care au primit Fabrazyme. Datele de susținere au arătat o scădere semnificativă a nivelurilor de Gb3 în rinichi și în sânge la pacienții tratați cu Elfabrio.

Studiile efectuate cu Elfabrio sunt descrise mai detaliat în rapoartele de evaluare a medicamentului.

Care sunt reacțiile adverse și restricțiile asociate cu Elfabrio?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Elfabrio, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Elfabrio (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt reacții asociate perfuziei, greață, astenie (slăbiciune) și dureri de cap.

Persoanele care primesc Elfabrio pot avea reacții alergice, de exemplu contracție excesivă și prelungită a mușchilor căilor respiratorii care provoacă dificultăți de respirație (bronhospasm).

De ce a fost autorizat Elfabrio în UE?

Agenția a considerat că eficacitatea Elfabrio a fost susținută prin natura substanței active, în special prin faptul că este o formă pegilată a enzimei prezente în mod natural, precum și prin mecanismul de acțiune bine stabilit al terapiei de substituție enzimatică pentru tratamentul bolii Fabry. Rezultatele studiului principal au arătat o scădere semnificativă a nivelurilor de Gb3 în rinichi și în sânge la pacienții tratați cu Elfabrio. Din cauza limitărilor legate de conceperea studiului, inclusiv de numărul mic de pacienți implicați, rezultatele studiului principal nu au arătat în mod concludent că Elfabrio este cel puțin la fel de eficace ca Fabrazyme.

În plus, reacțiile adverse la Elfabrio, care sunt în principal legate de perfuzie, sunt considerate gestionabile terapeutic. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Elfabrio sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Elfabrio?

Compania care comercializează Elfabrio va furniza materiale educaționale pacienților sau îngrijitorilor lor și profesioniștilor din domeniul sănătății, care conțin informații despre administrarea corectă a produsului la domiciliu.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Elfabrio, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Elfabrio sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Elfabrio sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Elfabrio

Elfabrio a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 4 mai 2023.

Mai multe informații despre Elfabrio, inclusiv prospectul și raportul de evaluare, se pot găsi pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Pentru informații despre disponibilitatea acestui medicament în țara dumneavoastră, contactați [autoritatea națională competentă](#) din țara dumneavoastră.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 03-2026.