



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Fabrazyme

agalsidază beta

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Fabrazyme. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Fabrazyme.

Ce este Fabrazyme?

Fabrazyme este un medicament care conține substanța activă agalsidază beta. Este disponibil sub formă de pulbere din care se prepară o soluție pentru perfuzie intravenoasă (picurare în venă).

Pentru ce se utilizează Fabrazyme?

Fabrazyme se utilizează pentru a trata pacienții cu boala Fabry, o afecțiune ereditară rară. Pacienții cu boala Fabry nu au o cantitate suficientă din enzima numită alfa-galactosidază A. Această enzimă descompune în mod normal o substanță grasă numită globotriaosilceramidă (GL-3 sau Gb3). În lipsa enzimei, GL-3 nu poate fi descompusă și se acumulează în celulele organismului, ca de exemplu în celulele renale.

Persoanele cu boala Fabry pot prezenta o varietate de semne și simptome, inclusiv afecțiuni severe cum ar fi insuficiență renală, probleme cardiace și accidente vasculare cerebrale.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Fabrazyme?

Fabrazyme trebuie administrat numai de către un medic care are experiență în tratarea pacienților cu boala Fabry sau cu alte boli metabolice ereditare.

Fabrazyme se administrează o dată la două săptămâni sub formă de perfuzie în doză de 1 mg pe kilogram de greutate corporală. Inițial viteza de perfuzie nu trebuie să depășească 0,25 mg pe minut



(15 mg pe oră) pentru a reduce riscul de efecte secundare legate de perfuzie. **La următoarele administrări** viteza de perfuzie poate fi mărită treptat.

Fabrazyme este destinat administrării pe termen lung. Perfuziile se administrează în spital dar pot fi administrate și la domiciliu dacă se demonstrează că pacientul tolerează bine perfuziile.

Cum acționează Fabrazyme?

Fabrazyme este o terapie de substituție enzimatică. Scopul terapiilor de substituție enzimatică este de a asigura pacienților enzima deficitară. Fabrazyme este destinat înlocuirii enzimei umane alfa-galactosidază A, care este deficitară la persoanele cu boala Fabry. Substanța activă din Fabrazyme, agalsidaza beta, este o copie a enzimei umane, care este produsă printr-o metodă cunoscută sub denumirea de „tehnologia ADN-ului recombinant”: este obținută din celule care au primit o genă (ADN), care le face capabile să producă această enzimă. Enzima de substituție ajută la descompunerea GL-3 și oprește acumularea ei în celulele pacientului.

Cum a fost studiat Fabrazyme?

Fabrazyme a fost evaluat în trei studii care au cuprins în total 73 de adulți. În studiul principal, Fabrazyme a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) pe 58 de pacienți. Studiul a cercetat efectul medicamentului asupra eliminării GL-3 din rinichi. Eficacitatea Fabrazyme a fost, de asemenea, testată pe 16 copii cu boala Fabry, cu vârste între opt și 16 ani.

Ce beneficii a prezentat Fabrazyme pe parcursul studiilor?

În studiul principal, după 20 de săptămâni de tratament, Fabrazyme a dus la un clearance foarte mare și aproape complet al GL-3 la nivelul celulelor renale. 69% din pacienții tratați cu Fabrazyme au prezentat cel mai bun rezultat al clearance-ului, comparativ cu niciun pacient din grupul placebo.

Copiii tratați cu Fabrazyme au prezentat de asemenea scăderea nivelelor sanguine de GL-3, toți copiii având valori normale după 20 de săptămâni de tratament. Acest lucru a fost însoțit de îmbunătățirea simptomelor și a calității vieții copiilor.

Care sunt riscurile asociate cu Fabrazyme?

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Fabrazyme (observate la mai mult de 1 pacient din 10) sunt cauzate de perfuzie și nu de medicament. Acestea sunt febră, frisoane, dureri de cap, parestezie (senzații anormale, de exemplu înțepături), greață, vărsături și senzație de frig. Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Fabrazyme, consultați prospectul.

Fabrazyme este contraindicat la persoanele care sunt hipersensibile (alergice) la agalsidază beta sau la oricare dintre celelalte ingrediente.

De ce a fost aprobat Fabrazyme?

CHMP a hotărât că pentru pacienții cu boala Fabry tratamentul bolii cu Fabrazyme poate oferi beneficii clinice pe termen lung. CHMP a hotărât că beneficiile Fabrazyme sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

Alte informații despre Fabrazyme

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Fabrazyme, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 3 august 2001.

EPAR-ul complet pentru Fabrazyme este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Fabrazyme, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 02-2013.