



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Replagal

agalsidază alfa

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Replagal. 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 Replagal.

Ce este Replagal?

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

Pentru ce se utilizează Replagal?

Replagal se utilizează în tratarea pacienților cu boala Fabry, o tulburare ereditară rară. Pacienții cu boala Fabry au un deficit al enzimei numite alfa-galactozidază A. Această enzimă descompune în mod normal o substanță grasă numită globotriaosilceramidă (Gb3 sau GL-3). În lipsa acestei enzime, Gb3 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 Replagal?

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

Replagal se administrează o dată la 2 săptămâni sub formă de perfuzie de 0,2 mg/kg greutate corporală cu durată de 40 de minute. Este destinat utilizării de lungă durată.



Cum acționează Replagal?

Replagal este o terapie de substituție enzimatică. Prin terapia de substituție enzimatică li se asigură pacienților enzima lipsă. Replagal este destinat înlocuirii enzimei umane alfa-galactozidază A, care lipsește la persoanele cu boala Fabry. Substanța activă din Replagal, alfasidaza alfa, este o copie a enzimei umane, produsă printr-o metodă cunoscută sub denumirea de „tehnologia ADN-ului recombinant”; aceasta este produsă de celule care au primit o genă (ADN) care le face capabile să producă enzima. Enzima de substituție ajută la descompunerea Gb3 și împiedică acumularea sa în celule.

Cum a fost studiat Replagal?

Replagal a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) în două studii principale care au cuprins în total 40 de pacienți bărbați. Primul studiu a examinat efectele Replagal asupra durerii, iar al doilea a examinat efectul său asupra masei ventriculului (mușchiul inimii) stâng, un indicator al cantității de Gb3 din celulele inimii. A fost investigat de asemenea efectul dozelor administrate săptămânal în loc de o dată la două săptămâni. Un studiu suplimentar a fost desfășurat pe 15 pacienți femei. Replagal a fost evaluat, de asemenea, în studii suplimentare care au cuprins 38 de copii cu vârsta de 7 ani sau peste.

Ce beneficii a prezentat Replagal pe parcursul studiilor?

După 6 luni de tratament, Replagal a redus considerabil durerea la pacienți, față de placebo. Replagal a redus masa ventriculului stâng cu 11,5 g în medie, în timp ce pacienții care au primit placebo au prezentat o creștere a masei ventriculare stângi de 21,8 g. Efectele la pacienții femei au fost comparabile cu efectele la pacienții bărbați și dozele săptămânale nu au prezentat niciun avantaj față de dozele standard. Copiii care au primit Replagal nu au prezentat o creștere neașteptată a masei inimii, iar nivelurile de Gb3 în sânge s-au redus.

Care sunt riscurile asociate cu Replagal?

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Replagal (observate la mai mult de 1 pacient din 10) sunt reacțiile legate de perfuzie. Acestea sunt frisoane, dureri de cap, greață, pirexie (febră), dureri și disconfort, roșeața feței și extenuare (oboseală) și sunt rareori grave. Pentru lista completă a efectelor secundare și a restricțiilor asociate cu Replagal, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat Replagal?

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

Replagal a fost inițial autorizat în „condiții excepționale”, deoarece, din cauză că boala este rară, informațiile puse la dispoziție la momentul aprobării erau limitate. Întrucât compania a furnizat informațiile suplimentare solicitate, „condițiile excepționale” au încetat la 20 iulie 2015.

.

Alte informații despre Replagal

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

EPAR-ul complet pentru Replagal este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Replagal, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 06-2015.