



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240108/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalzidáza alfa*)

Prehľad o lieku Elfabrio a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Elfabrio a na čo sa používa?

Elfabrio je liek, ktorý sa používa u dospelých na liečbu Fabryho choroby, zriedkavej dedičnej poruchy. Pacienti s Fabryho chorobou majú nedostatok enzýmu nazývaného alfa-galaktozidáza A, ktorý za normálnych okolností rozkladá masťnú látku nazývanú globotriaosylceramid (Gb3). Ak tento enzým nie je prítomný, Gb3 sa nemôže rozložiť a hromadí sa v orgánoch, napríklad v obličkách a srdci, čo spôsobuje zlyhanie obličiek a problémy so srdcom.

Liek Elfabrio obsahuje liečivo pegunigalzidáza alfa.

Ako sa liek Elfabrio používa?

Výdaj lieku Elfabrio je viazaný na lekársky predpis a na liečbu má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou Fabryho choroby.

Liek Elfabrio je dostupný vo forme infúzie (na kvapkanie) do žily, ktorá sa podáva raz za dva týždne. Liek je určený na dlhodobé používanie. Všetci pacienti sú počas infúzie a najmenej jednu až dve hodiny po infúzii monitorovaní na akékoľvek reakcie. Na zníženie rizika reakcií súvisiacich s infúziou môžu pacienti pred liečbou alebo počas liečby liekom Elfabrio dostať ďalšie lieky, alebo sa môže spomaliť čas podávania infúzie. Infúzie sa podávajú v nemocnici, ale môžu sa aj podávať doma, ak pacient ich dobre znáša.

Viac informácií o používaní lieku Elfabrio si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Elfabrio **účinkuje**?

Liek Elfabrio je enzýmová substitučná liečba. Tento druh liečby poskytuje pacientom enzým, ktorý im chýba. Liek Elfabrio je navrhnutý tak, aby nahradil ľudský enzým alfa-galaktozidázu A, ktorý chýba pacientom s Fabryho chorobou. Liečivo lieku Elfabrio, pegunigalzidáza alfa, je kópiou ľudského enzýmu a vyrába sa tzv. technológiou rekombinantnej DNA: tvoria ju bunky, do ktorých bol vložený gén (DNA), ktorý im umožňuje vytvárať tento enzým. Náhradný enzým pomáha rozkladať látku Gb-3 a zabraňuje jej hromadeniu v bunkách pacienta.



Aké prínosy lieku Elfabrio boli preukázané v štúdiách?

Prínosy lieku Elfabrio sa hodnotili v jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 78 pacientov s Fabryho chorobou. V štúdii sa porovnával liek Elfabrio s liekom Fabrazyme, ďalším enzýmovým substitučným liekom používaným na liečbu pacientov s Fabryho chorobou. Hlavné meradlo účinnosti bolo založené na rýchlosti glomerulárnej filtrácie (GFR, meradla fungovania obličiek), ktorá sa znižuje v dôsledku zhoršenia funkcie obličiek pacienta. Priemerná hodnota GFR sa znížila o 2,5 ml/min/1,73 m² ročne po 12 aj 24 mesiacoch liečby liekom Elfabrio v porovnaní s 1,7 ml/min/1,73 m² a 2,2 ml/min/1,73 m² u pacientov, ktorí dostávali liek Fabrazyme. Na základe podporných údajov sa preukázalo významné zníženie hladiny Gb3 v obličkách a krvi pacientov liečených liekom Elfabrio.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Elfabrio?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Elfabrio a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Elfabrio (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú precitlivenosť (alergické reakcie), asténia (slabosť) a reakcie súvisiace s infúziou.

U osôb, ktorým sa podáva liek Elfabrio, sa môžu vyskytnúť alergické reakcie vrátane nadmerného a dlhodobého sťahovania svalov dýchacích ciest, ktoré spôsobuje ťažkosti s dýchaním (bronchospazmus).

Prečo bol liek Elfabrio povolený v EÚ?

Agentúra usúdila, že účinnosť lieku Elfabrio je podporená povahou liečiva, konkrétne, že je to pegylovaná forma prirodzene sa vyskytujúceho enzýmu, ako aj dobre zavedeným mechanizmom účinku enzýmovej substitučnej liečby pri liečbe Fabryho choroby. Výsledkami hlavnej štúdie sa preukázalo významné zníženie hladiny Gb3 v obličkách aj v krvi pacientov liečených liekom Elfabrio. Vzhľadom na obmedzenia v súvislosti s návrhom štúdie vrátane malého počtu zúčastnených pacientov výsledky hlavnej štúdie presvedčivo nepreukázali, že liek Elfabrio je aspoň taký účinný ako liek Fabrazyme.

Okrem toho sa vedľajšie účinky lieku Elfabrio, ktoré súvisia najmä s infúziou, sa považujú za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Elfabrio sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na **bezpečné** a **účinné** používanie lieku Elfabrio?

Spoločnosť, ktorá liek Elfabrio uvádza na trh, poskytne pacientom alebo ich opatrovateľom a zdravotníckym pracovníkom vzdelávacie materiály s informáciami o správnom spôsobe podávania lieku v domácom prostredí.

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Elfabrio boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Elfabrio sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Elfabrio sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Elfabrio

Lieku Elfabrio bolo 4. mája 2023 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Elfabrio sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 05-2023