



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/118744/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidaza alfa*)

Pregled zdravila Elfabrio in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Elfabrio in za kaj se uporablja?

Elfabrio je zdravilo, ki se uporablja pri odraslih za zdravljenje Fabryjeve bolezni, ki je redka dedna bolezen. Bolniki s Fabryjevo boleznijo nimajo dovolj encima, imenovanega alfa-galaktozidaza A, ki običajno razgrajuje maščobno snov, imenovano globotriaosilceramid (Gb3). Če encim ni prisoten, se Gb3 ne more razgraditi in se kopiči v organih, kot so ledvice in srce, kar povzroči odpoved ledvic in težave s srcem.

Zdravilo Elfabrio vsebuje učinkovino pegunigalsidaza alfa.

Kako se zdravilo Elfabrio uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Elfabrio je le na recept, zdravljenje z njim pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem Fabryjeve bolezni.

Na voljo je v obliki infuzije (kapalne infuzije) v veno, ki se daje enkrat na dva tedna. Namenjeno je dolgotrajni uporabi. Pri vseh bolnikih je treba preverjati, ali med infundiranjem in še najmanj eno do dve uri po njem ni prišlo do pojava kakršnih koli reakcij. Za zmanjšanje tveganja za pojav reakcij, povezanih z infundiranjem, utegnejo bolniki pred zdravljenjem z zdravilom Elfabrio ali med njim prejeti druga zdravila ali pa se hitrost infundiranja upočasni. Infuzije se dajejo v bolnišnici, če jih bolnik dobro prenaša, pa se lahko dajejo tudi doma.

Za več informacij glede uporabe zdravila Elfabrio glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Elfabrio deluje?

Elfabrio je zdravilo za encimsko nadomestno zdravljenje. Tovrstno zdravljenje bolnikom zagotavlja encim, ki jim ga primanjkuje. Zdravilo Elfabrio je zasnovano tako, da nadomesti človeški encim alfa-galaktozidaza A, ki ga primanjkuje bolnikom s Fabryjevo boleznijo. Učinkovina v zdravilu Elfabrio, pegunigalsidaza alfa, je kopija človeškega encima, in se proizvaja z metodo, znano kot „tehnologija rekombinantne DNK“, pri kateri celica prejme gen (DNK), s katerim lahko tvori encim. Nadomestni encim pomaga razgraditi Gb3 in preprečiti njegovo kopičenje v bolnikovih celicah.



Kakšne koristi zdravila Elfabrio so se pokazale v študijah?

Koristi zdravila Elfabrio so ovrednotili v eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 78 bolnikov s Fabryjevo boleznijo. V študiji so primerjali zdravilo Elfabrio z drugim encimskim nadomestnim zdravljenjem, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov s Fabryjevo boleznijo. Glavno merilo učinkovitosti je temeljilo na hitrosti glomerulne filtracije (GFR; merilo uspešnosti delovanja ledvic), ki se zmanjšuje, ko se bolnikovo delovanje ledvic poslabša. Povprečna vrednost GFR se je zmanjšala za 2,5 ml/min/1,73 m² na leto po 12 in 24 mesecih zdravljenja z zdravilom Elfabrio v primerjavi z 1,7 ml/min/1,73 m² in 2,2 ml/min/1,73 m² pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Fabrazyme. Podporni podatki so pokazali pomembno zmanjšanje ravni Gb3 v ledvicah in krvi bolnikov, zdravljenih z zdravilom Elfabrio.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Elfabrio?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Elfabrio glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Elfabrio (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 bolnikov) so preobčutljivost (alergijske reakcije), astenija (šibkost) in z infuzijo povezane reakcije.

Pri ljudeh, ki prejema zdravilo Elfabrio, se lahko pojavijo alergijske reakcije, vključno s pretiranim in dolgotrajnim krčenjem mišic dihalnih poti, kar povzroči oteženo dihanje (bronhospazem).

Zakaj je bilo zdravilo Elfabrio odobreno v EU?

Agencija je menila, da je učinkovitost zdravila Elfabrio podprta z naravo učinkovine, zlasti s tem, da gre za pegilirano obliko naravnega encima, in tudi z dobro uveljavljenim mehanizmom delovanja encimskega nadomestnega zdravljenja pri zdravljenju Fabryjeve bolezni. Rezultati glavne študije so pokazali pomembno znižanje ravni Gb3 v ledvicah in krvi bolnikov, zdravljenih z zdravilom Elfabrio. Zaradi omejitev zasnove študije, vključno z majhnim številom vključenih bolnikov, rezultati glavne študije niso prepričljivo pokazali, da je zdravilo Elfabrio vsaj tako učinkovito kot zdravilo Fabrazyme.

Poleg tega neželeni učinki zdravila Elfabrio, ki so povezani predvsem z infundiranjem, veljajo za obvladljive. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Elfabrio večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in **učinkovite** uporabe zdravila Elfabrio?

Podjetje, ki trži zdravilo Elfabrio, bo bolnikom ali njihovim negovalcem ter zdravstvenim delavcem zagotovilo izobraževalno gradivo z informacijami o pravilnem dajanju zdravila v domačem okolju.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Elfabrio upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Elfabrio stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Elfabrio, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Elfabrio

Za zdravilo Elfabrio je bilo 4. maja 2023 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Elfabrio so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 05-2023.