



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Fabrazyme

agalzidaza beta

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Fabrazyme. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil zdravilo Fabrazyme, na podlagi česar je oblikoval mnenje za odobritev dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo Fabrazyme?

Fabrazyme je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino agalzidaza beta. Na voljo je v obliki praška za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije) v veno.

Za kaj se zdravilo Fabrazyme uporablja?

Zdravilo Fabrazyme se uporablja za zdravljenje bolnikov s Fabryjevo boleznijo, ki je redka dedna bolezen. Bolniki s Fabryjevo boleznijo nimajo dovolj encima, imenovanega alfa-galaktozidaza A. Ta encim običajno razgrajuje maščobno snov, imenovano globotriaosilceramid (GL-3 ali Gb3). Če encima primanjkuje, se GL-3 ne more razgraditi in se začne kopičiti v telesnih celicah, kot so na primer celice ledvic.

Ljudje s Fabryjevo boleznijo imajo lahko številne znake in simptome, pa tudi hude zdravstvene težave, kot so odpoved ledvic, težave s srcem in kap.

Izdaja zdravila je le na recept.

Kako se zdravilo Fabrazyme uporablja?

Zdravilo Fabrazyme lahko predpiše samo zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov s Fabryjevo boleznijo ali drugimi dednimi presnovnimi boleznimi.

Zdravilo Fabrazyme se daje z infuzijo v odmerku 1 mg na kilogram telesne mase enkrat vsaka dva tedna. Da se izognemo neželenim učinkom, povezanih z infuzijo, začetna hitrost infundiranja ne sme



presegati 0,25 mg na minuto (15 mg na uro). Hitrost infundiranja se lahko pri naslednjih infuzijah postopoma povečuje.

Zdravilo Fabrazyme je namenjeno dolgotrajni uporabi. Infuzija se daje v bolnišnici, vendar se lahko daje tudi doma, če se izkaže, da bolnik infuzijo dobro prenaša.

Kako zdravilo Fabrazyme deluje?

Zdravilo Fabrazyme je encimska nadomestna terapija. Encimske nadomestne terapije zagotavljajo bolnikom encim, ki jim ga primanjkuje. Zdravilo Fabrazyme je zasnovano tako, da nadomesti človeški encim alfa galaktozidaza A, ki ga primanjkuje pri ljudeh s Fabryjevo boleznijo. Zdravilno učinkovino zdravila Fabrazyme, agalzidazo beta, ki je kopija človeškega encima, izdelujejo s „tehnologijo rekombinantne DNK“, pri kateri celica prejme gen (DNK), s katerim lahko tvori encim. Nadomestni encim pomaga razgraditi GL-3 in preprečiti njegovo kopičenje v celicah bolnika.

Kako je bilo zdravilo Fabrazyme raziskano?

Zdravilo Fabrazyme je bilo raziskano v treh študijah, v katerih je sodelovalo 73 odraslih. V glavni študiji so zdravilo Fabrazyme primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine) pri 58 bolnikih. V njej so proučevali učinke zdravila na odstranjevanje GL-3 iz ledvic. Učinkovitost zdravila Fabrazyme so preizkušali tudi pri 16 otrocih s Fabryjevo boleznijo, starih od osem do 16 let.

Kakšne koristi je zdravilo Fabrazyme izkazalo med študijami?

V glavni študiji je zdravilo Fabrazyme po 20 tednih zdravljenja prispevalo k zelo pomembnemu in skoraj popolnemu očistku GL-3 v celicah ledvic: 69 % bolnikov, zdravljenih z zdravilom Fabrazyme, je doseglo najboljši rezultat očistka, medtem ko v skupini bolnikov, zdravljenih s placebom, bolnikov s takšnim rezultatom ni bilo nobenih.

Tudi pri otrocih, zdravljenih z zdravilom Fabrazyme, je prišlo do znižanja ravni GL-3 v krvi, pri čemer je bila pri vseh otrocih normalna raven dosežena po 20 tednih zdravljenja. Hkrati so se izboljšali tudi njihovi simptomi in kakovost življenja.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Fabrazyme?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Fabrazyme (opaženi pri več kot 1 bolniku od 10) so bolj posledica infundiranja kot pa zdravila. Neželeni učinki vključujejo povišano telesno temperaturo, glavobol, parestezijo (neobičajne telesne občutke, kot je mravljinčenje), navzejo (občutek slabosti), bruhanje in mrazjenje. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri zdravilu Fabrazyme, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Fabrazyme ne smejo uporabljati osebe, ki utegnejo biti preobčutljive za (alergične na) agalzidazo beta ali katerokoli drugo sestavino zdravila.

Zakaj je bilo zdravilo Fabrazyme odobreno?

CHMP je menil, da lahko zdravljenje z zdravilom Fabrazyme bolnikom s Fabryjevo boleznijo zagotovi dolgotrajne klinične koristi. Zaključil je, da so koristi zdravila Fabrazyme večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj odobri dovoljenje za promet.

Druge informacije o zdravilu Fabrazyme

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Fabrazyme, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila dne 3. avgusta 2001.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Fabrazyme je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports.

Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Fabrazyme preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 02-2013.