

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

Povzetek EPAR za javnost

Replagal

agalsidaza alfa

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

Kaj je zdravilo Replagal?

Replagal je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino agalazidaza alfa. Na voljo je v obliki koncentrata za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije) v veno.

Za kaj se zdravilo Replagal uporablja?

Zdravilo Replagal 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 globotriaozilceramid (Gb3 ali GL-3). Če encima ni, se Gb3 ne more razgraditi in se začne kopičiti v telesnih celicah, kot so na primer ledvične celice.

Ljudje z Fabryjevo boleznijo imajo številne znake in simptome, vključno s hudimi zdravstvenimi težavami, kot so odpoved ledvic, težave s srcem in možganska kap.

Izdaja zdravila je le na recept.

Kako se zdravilo Replagal uporablja?

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

Zdravilo se daje vsaka dva tedna v obliki 40-minutne infuzije v odmerku 0,2 mg/kg telesne mase. Namenjeno je dolgotrajni uporabi.

Kako zdravilo Replagal deluje?

Zdravilo Replagal je encimska nadomestna terapija. Encimska nadomestna terapija zagotavlja bolnikom encim, ki jim ga primanjkuje. Zdravilo Replagal je namenjeno nadomeščanju človeškega encima alfa-galaktozidaze A, ki ga primanjkuje osebam s Fabryjevo boleznijo. Zdravilna učinkovina zdravila Fabrazyme, agalazidaza beta, 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 celicah.

Kako je bilo zdravilo Replagal raziskano?

Zdravilo Replagal so primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine) v dveh glavnih študijah, ki so vključevale skupaj 40 bolnikov moškega spola. V prvi študiji so merili učinke zdravila Replagal na bolečino, v drugi pa so proučevali njegov učinek na maso levega prekata (srčne mišice), kar je merilo količine Gb3 v srčnih celicah. Proučevali so tudi učinke dajanja odmerkov vsak teden namesto vsaka dva tedna. Dodatna študija je bila izvedena pri 15 ženskih bolnicah. Zdravilo Replagal so ocenili tudi v dodatnih študijah, v katerih je sodelovalo 38 otrok, starih sedem let ali več.

Kakšne koristi je zdravilo Replagal izkazalo med študijami?

Po šestih mesecih zdravljenja so imeli bolniki, ki so prejeli zdravilo Replagal, občutno manj bolečin kot tisti, ki so prejeli placebo. Zdravilo Replagal je maso levega prekata zmanjšalo povprečno za 11,5 g, medtem ko se je masa levega prekata pri bolnikih, ki so prejeli placebo, povečala za 21,8 g. Učinki zdravila so bili pri ženskah in moških primerljivi. Ugotovili so tudi, da tedensko odmerjanje nima prednosti v primerjavi s standardnim odmerjanjem. Pri otrocih, ki so prejeli zdravilo Replagal, se srčna masa ni nepričakovano povečala, ravni Gb3 v krvi pa so se znižale.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Replagal?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Replagal (opaženi pri več kot 1 bolniku od 10) so reakcije, povezane z infundiranjem. Med njimi so mrzlica, glavobol, slabost, pireksija (povišana telesna temperatura), bolečina in nelagodje, zardevanje in utrujenost in so redko resni. Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Replagal glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Replagal odobreno?

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

Zdravilo Replagal je pridobilo dovoljenje za promet v „izjemnih okoliščinah“, saj so bile zaradi redkosti bolezni ob odobritvi zdravila na voljo le omejene informacije. Ker je družba predložila zahtevane dodatne informacije, so „izjemne okoliščine“ prenehale veljati dne 20. julija 2015.

Druge informacije o zdravilu Replagal

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Replagal, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 3. avgusta 2001.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Replagal 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 Replagal preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 06-2015.