



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidas alfa*)

Sammanfattning på klart och tydligt språk av Elfabrio och varför det är godkänt inom EU

Vad är Elfabrio och vad används det för?

Elfabrio är ett läkemedel som ges till vuxna för att behandla Fabrys sjukdom, en sällsynt ärftlig sjukdom. Patienter med Fabrys sjukdom har inte tillräckligt med ett enzym, alfa-galaktosidas A, som normalt bryter ner fettsubstansen globotriaosylceramid (Gb3). Om enzymet saknas kan Gb3 inte brytas ner och det ansamlas i organen, t.ex. i njurarna och hjärtat, vilket orsakar njursvikt och hjärtproblem.

Elfabrio innehåller den aktiva substansen pegunigalsidas alfa.

Hur används Elfabrio?

Elfabrio är receptbelagt och behandling ska övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla Fabrys sjukdom.

Elfabrio finns som en infusion (dropp) i en ven, som ges en gång varannan eller var fjärde vecka. Det är avsett för långtidsbehandling. Alla patienter övervakas för kontroll av eventuella reaktioner under infusionen och i minst en till två timmar därefter. För att minska risken för reaktioner under infusionen kan patienterna få andra läkemedel före eller under behandlingen med Elfabrio, eller så kan infusionshastigheten sänkas. Infusionerna ges på sjukhus men kan ges i hemmet om patienten tolererar infusionerna väl.

För mer information om hur du använder Elfabrio, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Elfabrio?

Elfabrio är en enzymsättningsbehandling. Denna typ av behandling ger patienterna det enzym de saknar. Elfabrio är utformat för att ersätta det mänskliga enzymet alfa-galaktosidas A, som saknas hos patienter med Fabrys sjukdom. Den aktiva substansen i Elfabrio, pegunigalsidas alfa, är en kopia av det humana enzymet och framställs med en metod som kallas rekombinant DNA-teknik, vilket innebär att det framställs av en cell som fått en gen (DNA) som gör att cellen kan producera enzymet.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Ersättningsenzymet bidrar till nedbrytningen av Gb3 och hindrar det från att ansamlas i patientens celler.

Vilka fördelar med Elfabrio har visats i studierna?

Fördelarna med Elfabrio utvärderades i en huvudstudie på 78 patienter med Fabrys sjukdom. I studien jämfördes Elfabrio med Fabrazyme, en annan enzymsättningsbehandling som används för att behandla patienter med Fabrys sjukdom. Huvudeffektmåttet baserades på glomerulär filtrationshastighet (GFR, ett mått på hur väl njurarna fungerar), som minskar när patientens njurfunktion försämras. Den genomsnittliga GFR minskade med 2,5 ml/min/1,73 m² per år efter både 12 och 24 månaders behandling med Elfabrio jämfört med 1,7 ml/min/1,73 m² och 2,2 ml/min/1,73 m² hos dem som fick Fabrazyme. Stödjande data visade en signifikant minskning av nivåerna av Gb3 i njurarna och blodet hos patienter som behandlades med Elfabrio.

Studier som utförts med Elfabrio beskrivs närmare i utredningsprotokollen om läkemedlet.

Vilka är biverkningarna och restriktionerna för Elfabrio?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Elfabrio finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Elfabrio (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är infusionsrelaterade reaktioner, illamående, asteni (svaghet) och huvudvärk.

Allergiska reaktioner, däribland kraftig och långvarig sammandragning av luftvägsmuskulerna, som orsakar andningssvårigheter (bronkospasm), kan förekomma hos personer som får Elfabrio.

Varför är Elfabrio godkänt i EU?

EMA fann att Elfabrios effekt gynnades av den aktiva substansens beskaffenhet, närmare bestämt för att det är en pegylerad form av det naturligt förekommande enzymet, och effekten stöddes även av den väletablerade verkningsmekanismen för enzymsättningsbehandling vid behandling av Fabrys sjukdom. Resultaten från huvudstudien visade på en signifikant minskning av nivåerna av Gb3 i både njurar och blod hos patienter som behandlades med Elfabrio. På grund av begränsningar i studiens utformning, däribland det låga antalet patienter som deltog, visade inte resultaten från huvudstudien slutgiltigt att Elfabrio var minst lika effektivt som Fabrazyme.

Vidare anses biverkningarna av Elfabrio, som främst är kopplade till infusionen, vara hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Elfabrio är större än riskerna och att Elfabrio kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Elfabrio?

Företaget som marknadsför Elfabrio kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial till patienter eller deras vårdare och till hälso- och sjukvårdspersonal, med information om hur produkten ges korrekt i hemmet.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Elfabrio har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Elfabrio kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Elfabrio utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Elfabrio

Den 4 maj 2023 beviljades Elfabrio ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Elfabrio, inklusive bipacksedeln och utredningsrapporten, finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio

För information om tillgången till detta läkemedel i ditt land, kontakta din [nationella behöriga myndighet](#).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 03-2026.