

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Replagal

agalsidas alfa

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Replagal. Det förklarar hur kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Replagal?

Replagal är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen agalsidas alfa. Det finns som ett koncentrat som bereds till en infusionsvätska, lösning (ges som dropp i en ven).

Vad används Replagal för?

Replagal används för att behandla patienter som har Fabrys sjukdom, en sällsynt ärftlig sjukdom. Patienter med Fabrys sjukdom har brist på ett enzym som kallas alfagalaktosidas A. Detta enzym bryter normalt ner en fettsubstans som kallas globotriaocylceramid (Gb3 eller GL-3). Om enzymet saknas kan Gb3 inte brytas ner och det lagras då i kroppens celler, t.ex. i njurceller.

Personer med Fabrys sjukdom kan ha en rad olika tecken och symtom, bland annat allvarliga tillstånd som njursvikt, hjärtproblem och stroke.

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Replagal?

Endast läkare som har erfarenhet av behandling av patienter med Fabrys sjukdom eller andra ärftliga metaboliska sjukdomar får ge Replagal.

Replagal ges en gång varannan vecka som en infusion på 0,2 mg per kilo kroppsvikt under 40 minuter. Det är avsett för långtidsbehandling.

Hur verkar Replagal?

Replagal är en enzymsättningsbehandling. Enzymsättningsbehandling ger patienter det enzym de saknar. Replagal är utformat för att ersätta det humana enzymet alfagalaktosidas A, som saknas hos personer med Fabrys sjukdom. Den aktiva substansen i Replagal, agalsidas 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. Ersättningsenzymet bidrar till nedbrytningen av Gb3 och hindrar det från att ansamlas i cellerna.

Hur har Replagals effekt undersökts?

Replagal har jämförts med placebo (overksam behandling) i två huvudstudier på sammanlagt 40 manliga patienter. I den första studien mättes Replagals effekt på smärta och i den andra studien mättes effekten på vänstra kammarens (hjärtmuskel) massa, ett mått på mängden Gb3 i hjärtcellerna. Effekten av att ge en dos varje vecka i stället för varannan vecka mättes också. Ytterligare en studie genomfördes på 15 kvinnliga patienter. Replagal har också utvärderats i tilläggsstudier på 38 barn från 7 års ålder.

Vilken nytta har Replagal visat vid studierna?

Efter sex månaders behandling minskade Replagal patienternas smärta betydligt jämfört med placebo. Replagal minskade den vänstra kammarens vikt med i genomsnitt 11,5 g, medan de placebobehandlade patienterna uppvisade en ökning av vikten av vänster kammare på 21,8 g. Effekterna hos de kvinnliga patienterna var jämförbara med effekterna hos de manliga patienterna och veckodoser visade sig inte vara mer fördelaktiga än standarddoser. Barn som fick Replagal uppvisade ingen oväntad ökning av hjärtats massa och Gb3-nivåerna i blodet minskade.

Vilka är riskerna med Replagal?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Replagal (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är infusionsrelaterade reaktioner. Biverkningarna är sällan allvarliga och utgörs bland annat av frossa, huvudvärk, illamående, pyrexia (feber), smärta och obehag, ansiktsrodnad och utmattning. En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Replagal finns i bipacksedeln.

Varför har Replagal godkänts?

CHMP fann att behandling med Replagal kan ge en långvarig klinisk nytta för patienter med Fabrys sjukdom. CHMP fann att nyttan med Replagal är större än riskerna och rekommenderade att Replagal skulle godkännas för försäljning.

Replagal godkändes ursprungligen i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall" eftersom sjukdomen är sällsynt och det därför endast fanns begränsad information vid tidpunkten för godkännandet. Eftersom företaget hade tillhandahållit den kompletterande information som begärts upphörde villkoret "i undantagsfall" att gälla den 20 juli 2015.

Mer information om Replagal

Den 3 augusti 2001 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Replagal som gäller i hela EU.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Mer information om behandling med Replagal finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2015.