



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Fabrazyme

Agalsidase Beta

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Fabrazyme. Hierin wird erläutert, wie der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) das Arzneimittel beurteilt hat, um zu seinem befürwortenden Gutachten zur Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen und seinen Empfehlungen zu den Anwendungsbedingungen für Fabrazyme zu gelangen.

Was ist Fabrazyme?

Fabrazyme ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Agalsidase Beta enthält. Es ist als Pulver zur Herstellung einer Infusionslösung (Tropfinfusion in eine Vene) erhältlich.

Wofür wird Fabrazyme angewendet?

Fabrazyme wird zur Behandlung von Patienten mit Morbus Fabry, einer seltenen erblich bedingten Erkrankung, angewendet. Patienten mit Morbus Fabry verfügen nicht über ausreichend Alpha-Galactosidase A, ein Enzym, das normalerweise eine Fettsubstanz, das sogenannte Globotriaosylceramid (GL-3 oder Gb3), abbaut. Ist das Enzym nicht vorhanden, kann GL-3 nicht abgebaut werden und reichert sich in Körperzellen wie z. B. den Nierenzellen an.

Personen mit Morbus Fabry können vielfältige Anzeichen und Symptome aufweisen, einschließlich schwerer Erkrankungen wie Niereninsuffizienz, Herzprobleme oder Schlaganfall.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

Wie wird Fabrazyme angewendet?

Fabrazyme sollte nur von einem Arzt verabreicht werden, der Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit Morbus Fabry oder anderen erblichen Stoffwechselerkrankungen hat.



Fabrazyme wird einmal alle zwei Wochen als Infusion mit 1 mg pro Kilogramm Körpergewicht verabreicht. Zu Therapiebeginn sollte die Infusionsrate nicht mehr als 0,25 mg pro Minute (15 mg pro Stunde) betragen, um das Risiko infusionsbedingter Nebenwirkungen herabzusetzen, bei weiteren Infusionen kann sie jedoch schrittweise erhöht werden.

Fabrazyme ist zur Langzeitanwendung ausgelegt. Die Infusionen sind in einer Klinik zu verabreichen, können jedoch zu Hause durchgeführt werden, wenn der Patient die Infusionen gut verträgt.

Wie wirkt Fabrazyme?

Fabrazyme ist eine Enzymersatztherapie, die Patienten mit dem Enzym versorgt, an denen es ihnen mangelt. Fabrazyme soll das menschliche Enzym Alpha-Galactosidase A ersetzen, das bei Morbus Fabry-Patienten nicht ausreichend vorhanden ist. Der Wirkstoff in Fabrazyme, Agalsidase Beta, ist eine Kopie des menschlichen Enzyms, das nach einer Methode hergestellt wird, die als „rekombinante DNA-Technologie“ bezeichnet wird: Es wird von Zellen produziert, in die ein Gen (DNA) eingebracht wurde, das sie zur Bildung des Enzyms befähigt. Das Ersatzenzym unterstützt den GL-3-Abbau und unterbindet seine Anreicherung in den Zellen des Patienten.

Wie wurde Fabrazyme untersucht?

Fabrazyme wurde in drei Studien an insgesamt 73 Erwachsenen untersucht. In der Hauptstudie wurde Fabrazyme an 58 Patienten mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Dabei wurde untersucht, wie wirksam das Arzneimittel GL-3 aus den Nieren entfernte. Die Wirksamkeit von Fabrazyme wurde zudem an 16 Kindern im Alter zwischen acht und 16 Jahren mit Morbus Fabry untersucht.

Welchen Nutzen hat Fabrazyme in diesen Studien gezeigt?

In der Hauptstudie wurde mit Fabrazyme nach 20 Behandlungswochen eine hoch signifikante und fast vollständige Entfernung von GL-3 in den Nierenzellen erreicht: 69 % der mit Fabrazyme behandelten Patienten wiesen die besten Werte bezüglich der Entfernung von GL-3 aus den Nieren auf, verglichen mit keinem der Patienten der Placebo-Gruppe.

Bei Kindern, die mit Fabrazyme behandelt wurden, nahmen die GL-3-Konzentrationen im Blut ebenfalls ab, und sämtliche Kinder wiesen nach 20 Behandlungswochen normale Konzentrationen auf. Dies ging mit Verbesserungen der Symptome und der Lebensqualität einher.

Welches Risiko ist mit Fabrazyme verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Fabrazyme (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) sind eher eine Folge der Infusion als des Arzneimittels. Dazu gehören Fieber, Schüttelfrost, Kopfschmerzen, Parästhesie (abnormale Empfindungen wie Kribbeln und Prickeln), Nausea (Übelkeit), Erbrechen und Kältegefühl. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Fabrazyme berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Fabrazyme darf nicht bei Patienten angewendet werden, die überempfindlich (allergisch) gegen Agalsidase Beta oder einen der sonstigen Bestandteile sind.

Warum wurde Fabrazyme zugelassen?

Der CHMP stellte fest, dass die Behandlung mit Fabrazyme für Morbus Fabry-Patienten langfristigen klinischen Nutzen bringen kann. Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Fabrazyme

gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Weitere Informationen über Fabrazyme

Am 3. August 2001 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Fabrazyme in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Fabrazyme finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Fabrazyme benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 02-2013 aktualisiert.