



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR, sažetak za javnost

---

# Replagal

agalzidaza alfa

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Replagal. Objašnjava kako je Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) ocijenio lijek da bi donio svoje mišljenje u korist izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet te preporuke o uvjetima za primjenu lijeka Replagal.

## Što je Replagal?

Replagal je lijek koji sadrži djelatnu tvar agalzidaza alfa. Postoji kao koncentrat za suspenziju za infuziju (drip u venu).

## Za što se Replagal koristi?

Replagal se koristi uza liječenje bolesnika s Fabryjevom bolesti, rijetkim nasljednim poremećajem. Bolesnici s Fabryjevom bolesti imaju deficijenciju enzima  $\alpha$ -galaktozidaze A. Ovaj enzim normalno razgrađuje masnu tvar naziva globotriaosilkeramid (Gb3 ili GL-3). Ako enzim nije prisutan, Gb3 se ne može razgrađivati i ugrađuje se u stanice tijela poput stanica bubrega.

Osobe s Fabryjevom bolesti mogu imati široko raspon znakova i simptoma, uključujući ozbiljna stanja poput zatajenja bubrega, srčanih problema i moždanog udara.

Lijek se izdaje samo na liječnički recept.

## Kako se Replagal koristi?

Samo liječnici koji su iskusni u liječenju bolesnika s Fabryjevom bolesti ili drugom nasljednom metaboličkom bolesti smiju primjenjivati lijek Replagal.

Replagal se primjenjuje jednom svakih 2 tjedna kao infuzija od 0,2 mg po kilogramu tjelesne težine tijekom 40 minuta. Namijenjen je za dugoročnu primjenu.



## Kako djeluje Replagal?

Replagal je enzimski zamjenski terapija. Enzimski zamjenski terapija osigurava bolesniku enzime koji mu nedostaju. Replagal je dizajniran kako bi zamijenio ljudski enzim alfa-galaktozidaza A, koji nedostaje osobama s Fabryjevom bolesti. Djelatna tvar lijeka Replagal, agalozidaza alfa, jest kopija ljudskog enzima, proizvedena metodom poznatom pod nazivom "tehnologija rekombinantne DNK": proizvodi ga stanice koje su primile gen (DNK), koji im omogućuje stvaranje enzima. Zamjenski enzim pomaže pri razgradnji Gb3 i zaustavlja njegovu ugradnju u stanice.

## Kako je Replagal ispitivan?

Replagal je uspoređen s placebo (prividnim terapijom) u dva glavna ispitivanja koja su obuhvatila ukupno 40 muških bolesnika. Prvo je ispitivanje izmjerilo djelovanje lijeka Replagal na bol dok je drugo ispitivanje izmjerilo njegovo djelovanje na masu lijevog ventrikula (srčanog mišića), mjera količine Gb3 u srčanim stanicama. Istraženo je i djelovanje primjene tjednih doza u odnosu na primjenu svaka dva tjedna. Provedeno je daljnje ispitivanje u 15 ženskih bolesnika. Replagal je također ocijenjen u daljnjim ispitivanjima koja su obuhvatila 38 djece u dobi od 7 godina ili starijih.

## Koje su koristi lijeka Replagal utvrđene u ispitivanjima?

Nakon 6 mjeseci terapije, Replagal je značajno smanjio bol u bolesnika u usporedbi s placebo. Replagal je smanjio masu lijevog ventrikula prosječno za 11,5 g dok su bolesnici koji su primali placebo imali povećanje u masi lijevog ventrikula od 21,8 g. Djelovanje u ženskih bolesnika uspoređeno je s onim u muških bolesnika, a tjedno doziranje nije imalo nikakvu prednost u odnosu na standardne doze. Djeca koja su primila lijek Replagal nisu imala neočekivanih povećanja u srčanoj masi, a koncentracije Gb3 u njihovoj krvi su se smanjile.

## Koji su rizici povezani s lijekom Replagal?

Najčešće nuspojave lijeka Replagal (može se javiti u više od 1 na 10 osoba) su reakcije povezane s infuzijom.. Ove nuspojave uključuju zimicu, mučninu, pireksiju (vrućicu), bol i nelagodu, znojenje o iscrpljenost (umor), te su rijetko ozbiljne. Potpuni popis nuspojava i ograničenja zabilježenih pri primjeni lijeka Replagal potražite u uputi o lijeku.

## Zašto je Replagal odobren?

CHMP je odlučio da bolesnici s Fabryjevom bolesti mogu imati dugoročne koristi od terapije lijekom Replagal. CHMP je odlučio da koristi od lijeka Replagal nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Replagal je prvobitno odobren u „iznimnim okolnostima“ zbog toga što su, iz znanstvenih razloga, u trenutku izdavanja odobrenja bile dostupne samo ograničene informacije. Tvrtka je dostavila dodatne zatražene informacije, tako da je dodano „u iznimnim okolnostima“ dana 20. srpnja 2015

## Ostale informacije o lijeku Replagal

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Replagal na snazi u Europskoj uniji od 3. kolovoza 2001.

Cjeloviti EPAR za lijek Replagal nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Više informacija o terapiji lijekom Replagal pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak je posljednji put ažuriran u 06. 2015.