



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Fabrazyme

béta-agalzidáz

Ez a Fabrazyme-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Fabrazyme alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Fabrazyme?

A Fabrazyme egy béta-agalzidáz nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Oldatos infúzió készítésére alkalmas por formájában kapható.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Fabrazyme?

A Fabrazyme-ot a Fabry-kórban, egy ritka örökletes betegségben szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák. A Fabry-kórban szenvedő betegek szervezetében nincsen elegendő alfa-galaktozidáz A enzim, amely rendes körülmények között lebontja a globotriaoszil-ceramid (GL-3 vagy Gb3) nevű zsíros anyagot. Ha az enzim hiányzik, a GL-3 nem képes lebomlani, és felhalmozódik a szervezet sejtjeiben, például a vesesejtekben.

A Fabry-kórban szenvedő betegeknél sokféle tünet jelentkezhet, köztük olyan súlyos állapotok is, mint a veseelégtelenség, szívproblémák és sztrók.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Fabrazyme-ot?

A Fabrazyme-ot csak a Fabry-kór vagy más örökletes anyagcsere-betegségek kezelésében jártas orvos adhatja be.

A Fabrazyme-ot kéthetente egyszer, 1 mg/kg dózisú infúzió formájában alkalmazzák. Az infúzióval kapcsolatos mellékhatások csökkentése érdekében a kezdeti infúzióadagolási sebesség

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



nem haladhatja meg a percenkénti 0,25 mg-ot (óránként 15 mg). Az infúzió adagolását a továbbiakban fokozatosan gyorsítani lehet.

A Fabrazyme hosszú távú alkalmazásra való. Az infúziót kórházban kell beadni, de otthon is beadható abban az esetben, ha azt a beteg jól tolerálja.

Hogyan fejt ki hatását a Fabrazyme?

A Fabrazyme egy enzimpótló kezelés. Az enzimpótló kezelés ellátja a beteget a hiányzó enzimmal. A Fabrazyme-ot arra fejlesztették ki, hogy pótolja az alfa-galaktozidáz A elnevezésű humán enzimet, amely a Fabry-kórban szenvedő betegeknél hiányzik. A Fabrazyme hatóanyaga, a béta-agalozidáz, a humán enzim másolata, amelyet a „rekombináns DNS technológiaként” ismert eljárással állítanak elő: egy sejt termeli, amelybe olyan gént (DNS-t) juttattak, amelynek hatására képes az enzim előállítására. A helyettesítő enzim segít a GL-3 lebontásában, és megakadályozza annak felhalmozódását a sejtekben.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Fabrazyme-ot?A Fabrazyme-ot három, összesen 73 felnőtt bevonásával végzett vizsgálatban tanulmányozták. A fő vizsgálatban a Fabrazyme-ot placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze 58 betegnél. A vizsgálatban a gyógyszernek a GL-3 veséből való kiürítésére gyakorolt hatását tanulmányozták. A Fabrazyme hatásosságát 16, nyolc és 16 év közötti, Fabry-kórban szenvedő gyermeknél is vizsgálták.

Milyen előnyei voltak a Fabrazyme alkalmazásának a vizsgálatok során?

A fő vizsgálatban 20 hetes kezelést követően a Fabrazyme hatására a GL-3 nagyon jelentős mértékben, majdnem teljesen kiürült a vesesejtekből: a Fabrazyme-mal kezelt betegek 69%-a érte el a tisztulás legnagyobb értékét, míg a placebóval kezelt betegek esetében senki sem.

A Fabrazyme-mal kezelt gyermekek vérében szintén csökkent a GL-3 szint, 20 hetes kezelés után pedig valamennyi gyermeknél visszaállt a normális szint. Emellett enyhültek a tüneteik és javult az életminőségük.

Milyen kockázatokkal jár a Fabrazyme alkalmazása?

A Fabrazyme leggyakoribb mellékhatásait (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) inkább az infúzió, mintsem a gyógyszer okozza. Ezek többek közt: a fejfájás, az érzékszavak mint pl. tüsszúrás, a hányinger, a hányás és a fázás. A Fabrazyme alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban!

A Fabrazyme nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiásak) a béta-agalozidázzal vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben.

Miért engedélyezték a Fabrazyme forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy a Fabry-kórban szenvedő betegek számára a Fabrazyme-mal történő kezelés hosszú távú klinikai előnyökkel járhat. A CHMP megállapította, hogy a Fabrazyme alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A Fabrazyme-mal kapcsolatos egyéb információ

2001. augusztus 3-án az Európai Bizottság a Fabrazyme-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Fabrazyme-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Amennyiben a Fabrazyme-mal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 02-2013.