



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-samenvatting voor het publiek

---

# Fabrazyme

## agalsidase bèta

Dit is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Fabrazyme. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Fabrazyme vast te stellen.

### **Wat is Fabrazyme?**

Fabrazyme is een geneesmiddel dat de werkzame stof agalsidase bèta bevat. Het is verkrijgbaar in de vorm van een poeder waarmee een oplossing voor infusie (indruppeling in een ader) wordt gemaakt.

### **Wanneer wordt Fabrazyme voorgeschreven?**

Fabrazyme wordt gebruikt voor het behandelen van patiënten met de ziekte van Fabry, een zeldzame erfelijke aandoening. Patiënten met de ziekte van Fabry hebben een tekort aan een bepaald enzym, alfa-galactosidase A. Dit enzym zorgt normalerwijze voor de afbraak van de vetachtige substantie globotriaosylceramide (GL-3 of Gb3). Als het enzym ontbreekt, kan GL-3 niet worden afgebroken en hoopt het zich op in de lichaamscellen, bijvoorbeeld in de niercellen.

Mensen met de ziekte van Fabry kunnen zeer uiteenlopende symptomen hebben, waaronder ernstige aandoeningen zoals nierfalen, hartproblemen en hersenbloedingen.

Dit middel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

### **Hoe wordt Fabrazyme gebruikt?**

Alleen artsen die ervaring hebben met het behandelen van patiënten met de ziekte van Fabry of andere erfelijke stofwisselingsziekten mogen Fabrazyme toedienen.

Fabrazyme wordt eenmaal in de twee weken toegediend als een infusie van 1 mg/kg lichaamsgewicht. De aanvangsinfusiesnelheid mag niet hoger zijn dan 0,25 mg per minuut (15 mg per uur) om het risico



op infusiegerelateerde bijwerkingen te verkleinen. De infusiesnelheid mag bij opeenvolgende infusies geleidelijk aan worden verhoogd.

Fabrazyme is bedoeld voor langdurig gebruik. De infusies worden in een ziekenhuis toegediend, maar ze mogen thuis worden gegeven indien is gebleken dat de patiënt de infusies goed verdraagt.

## **Hoe werkt Fabrazyme?**

Fabrazyme is een enzymvervangingstherapie, waarbij aan patiënten het hun ontbrekende enzym wordt toegediend. Fabrazyme is bedoeld om het humane enzym alfa-galactosidase A – dat ontbreekt bij patiënten met de ziekte van Fabry – te vervangen. Agalsidase bèta, de werkzame stof van Fabrazyme, is een kopie van het humane enzym en wordt vervaardigd met behulp van een methode die bekendstaat als 'recombinant-DNA-techniek' en wel door cellen waarin een gen (DNA) is ingebracht zodat het enzym kan worden aangemaakt. Het vervangingsenzym helpt GL-3 af te breken en houdt ophoping ervan in de cellen tegen.

## **Hoe is Fabrazyme onderzocht?**

Fabrazyme is onderzocht in drie studies waaraan in totaal 73 volwassenen deelnamen. In de belangrijkste studie werd bij 58 patiënten Fabrazyme vergeleken met placebo (een schijnbehandeling). Er werd gekeken naar het effect van het geneesmiddel op de klaring van GL-3 in de nieren. De werkzaamheid van Fabrazyme werd eveneens getest bij zestien kinderen tussen acht en zestien jaar met de ziekte van Fabry.

## **Welke voordelen bleek Fabrazyme tijdens de studies te hebben?**

In de belangrijkste studie zorgde Fabrazyme voor een zeer significante en vrijwel volledige klaring van GL-3 in de niercellen na twintig weken behandeling: 69 % van de met Fabrazyme behandelde patiënten vertoonde de beste klaringsresultaten, tegenover geen enkele patiënt in de placebogroep.

Bij met Fabrazyme behandelde kinderen was er eveneens een daling van GL-3 in het bloed, en na twintig weken behandeling hadden alle kinderen normale bloedwaarden. Dit ging vergezeld van verbeteringen van de symptomen en een verbetering van hun kwaliteit van leven.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Fabrazyme in?**

Tijdens de studies werden de meest voorkomende bijwerkingen (waargenomen bij meer dan 1 op de 10 patiënten) eerder door de infusie veroorzaakt dan door het geneesmiddel. Deze bijwerkingen zijn koorts, rillingen, hoofdpijn, paresthesie (abnormale gewaarwordingen zoals prikkelingen en tintelingen), misselijkheid, braken en het koud hebben. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Fabrazyme.

Fabrazyme mag niet worden gebruikt bij mensen die overgevoelig (allergisch) zijn voor agalsidase bèta of voor enig ander bestanddeel van het middel.

## **Waarom is Fabrazyme goedgekeurd?**

Het CHMP heeft geconcludeerd dat behandeling met Fabrazyme voor patiënten met de ziekte van Fabry op de lange termijn klinische voordelen zou kunnen opleveren. Het CHMP heeft geconcludeerd dat de voordelen van Fabrazyme groter zijn dan de risico's, en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van Fabrazyme.

## **Overige informatie over Fabrazyme:**

De Europese Commissie heeft op 3 augustus 2001 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Fabrazyme verleend.

Het volledige EPAR voor Fabrazyme is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Zie de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Fabrazyme.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 02-2013.