



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Fabrazyme

agalzydaza beta

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Fabrazyme. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Fabrazyme do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

Co to jest Fabrazyme?

Fabrazyme jest lekiem zawierającym substancję czynną agalzydazę beta. Lek ma postać proszku, z którego sporządza się roztwór do infuzji (wlewu dożylnego).

W jakim celu stosuje się lek Fabrazyme?

Lek Fabrazyme stosuje się w leczeniu pacjentów z chorobą Fabry'ego – rzadką chorobą dziedziczną. Pacjenci z chorobą Fabry'ego cierpią na niedobór enzymu o nazwie alfa-galaktozydaza A. Zwykle enzym ten rozkłada substancję tłuszczową o nazwie: globotriaosyloceramid (GL-3 lub Gb3). W przypadku braku tego enzymu GL-3 nie ulega rozkładowi, odkładając się w komórkach organizmu, np. w komórkach nerek.

U osób z chorobą Fabry'ego może występować wiele różnych oznak i objawów, w tym ciężkie stany tj. niewydolność nerek, problemy sercowe i udar.

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak stosować lek Fabrazyme?

Lek powinien podawać jedynie lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z chorobą Fabry'ego lub innymi metabolicznymi chorobami dziedzicznymi.

Lek Fabrazyme podaje się co dwa tygodnie we wlewie dożylnym w dawce 1 mg na kilogram masy ciała. Początkowe tempo wlewu nie powinno przekroczyć 0,25 mg/min (15 mg/godz.) w celu zmniejszenia



ryzyka wystąpienia działań niepożądanych po podaniu wlewu. Tempo wlewu można zwiększać stopniowo przy podawaniu kolejnych wlewów.

Lek Fabrazyme jest przeznaczony do długoterminowego leczenia. Wlewy podaje się w szpitalu, ale mogą być również podawane w domu, jeżeli wykazano, że pacjent dobrze je toleruje.

Jak działa lek Fabrazyme?

Lek Fabrazyme stosuje się jako enzymatyczną terapię zastępczą. Enzymatyczna terapia zastępcza dostarcza pacjentom brakujący enzym. Lek Fabrazyme opracowano w celu zastąpienia enzymu ludzkiego, alfa-galaktozydazu A, którego niedobór stwierdzono u osób z chorobą Fabry'ego. Substancja czynna leku Fabrazyme, agalzydaza beta, jest kopią enzymu ludzkiego i została uzyskana metodą znaną jako technika rekombinacji DNA: jest ona wytwarzana przez komórki, które otrzymały odpowiedni gen (DNA) umożliwiający im wytwarzanie enzymu. Enzym zastępczy pomaga rozbić GL-3 i hamuje jego gromadzenie w komórkach pacjenta.

Jak badano lek Fabrazyme?

Lek Fabrazyme oceniano w trzech badaniach z udziałem łącznie 73 dorosłych pacjentów. W badaniu głównym lek Fabrazyme porównywano z placebo (leczenie obojętne) u 58 pacjentów. W badaniu obserwowano wpływ leków na usuwanie GL-3 z nerek. Skuteczność leku Fabrazyme badano również u 16 dzieci w wieku od 8 do 16 lat z chorobą Fabry'ego.

Jakie korzyści ze stosowania leku Fabrazyme zaobserwowano w badaniach?

W badaniu głównym po 20 tygodniach leczenia Fabrazyme przyczynił się do znacznego i prawie całkowitego usunięcia GL-3 z komórek nerek: u 69% pacjentów leczonych produktem Fabrazyme stwierdzono najlepsze wyniki w tym zakresie, nie stwierdzono natomiast usunięcia GL-3 u żadnego pacjenta w grupie, której podawano placebo.

U dzieci leczonych produktem Fabrazyme zaobserwowano spadek w poziomie GL-3 we krwi, przy czym wszystkie dzieci miały normalny jego poziom po 20 tygodniach leczenia. Towarzyszyło temu zmniejszenie objawów i poprawa jakości życia.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem leku Fabrazyme?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Fabrazyme (obserwowane u więcej niż 1 na 10 pacjentów) były spowodowane raczej przez infuzję niż przez lek. Działania te obejmowały: gorączkę, dreszcze, ból głowy, parestezję (nieprawidłowe odczucia, takie jak mrowienie), nudności (mdłości), wymioty i uczucie zimna. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Fabrazyme znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Fabrazyme nie wolno stosować u osób, u których występuje nadwrażliwość (alergia) na agalzydazę beta lub którykolwiek składnik produktu.

Na jakiej podstawie zatwierdzono lek Fabrazyme?

CHMP uznał, że u pacjentów z chorobą Fabry'ego leczenie produktem Fabrazyme może przynieść długoterminowe korzyści kliniczne. CHMP uznał, że korzyści ze stosowania leku Fabrazyme przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu.

Inne informacje dotyczące leku Fabrazyme:

W dniu 3 sierpnia 2001 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie leku Fabrazyme do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Fabrazyme znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Fabrazyme należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 02-2013.