



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Replagal

alfa-agalzidáza

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Replagal. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Replagal.

Čo je liek Replagal?

Replagal je liek, ktorý obsahuje účinnú látku alfa-agalzidáza. Je dostupný ako koncentrát na prípravu infúzneho roztoku (na kvapkanie) do žily.

Na čo sa liek Replagal používa?

Liek Replagal sa používa na liečbu pacientov so zriedkavou dedičnou poruchou, Fabryho chorobou. Pacienti s Fabryho chorobou majú nedostatok enzýmu alfa-galaktozidázy A. Tento enzým zvyčajne rozkladá masťnú látku nazývanú globotriaosylceramid (Gb3 alebo GL-3). Ak enzým chýba, Gb3 sa nemôže rozložiť a hromadí sa v bunkách v tele, napr. v bunkách obličiek.

Osoby s Fabryho chorobou môžu mať široké spektrum príznakov a symptómov vrátane závažných ochorení ako zlyhanie obličiek, problémy so srdcom a mozgová mŕtvica.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Replagal užíva?

Liek Replagal má podávať len lekár, ktorý má skúsenosti s liečením pacientov s Fabryho chorobou alebo inými dedičnými metabolickými ochoreniami.

Liek Replagal sa podáva jedenkrát každé dva týždne ako infúzia počas 40 minút v dávke 0,2 mg na kilogram telesnej hmotnosti. Liek je určený na dlhodobé používanie.



Akým spôsobom liek Replagal účinkuje?

Liek Replagal sa používa ako liečba, ktorou sa nahrádza enzým. Liečbou, ktorou sa nahrádza enzým, sa pacientom dodáva tento chýbajúci enzým. Liek Replagal bol vyvinutý tak, aby nahradil ľudský enzým alfa-galaktozidázu A, ktorý chýba osobám s Fabryho chorobou. Účinná látka lieku Replagal, alfa-agalzidáza je kópiou ľudského enzýmu a vyrába sa tzv. technológiou rekombinantnej DNA: tvoria ju bunky, do ktorých bol vložený gén (DNA), ktorý im umožňuje produkovať enzým. Náhradný enzým pomáha rozkladať látku Gb3 a zabraňuje jej hromadeniu v bunkách.

Ako bol liek Replagal skúmaný?

Liek Replagal sa porovnával s placebom (zdanlivým liekom) v dvoch hlavných štúdiách, na ktorých sa celkovo zúčastnilo 40 mužských pacientov. V prvej štúdii sa meral účinok lieku Replagal v súvislosti s bolesťou a v druhej štúdii sa meral jeho účinok v súvislosti s hmotnosťou ľavej komory (srdcového svalu), čo je pomer množstva Gb3 v srdcových bunkách. Skúmali sa aj účinky podávania lieku každý týždeň v porovnaní s podávaním každé dva týždne. Ďalšia štúdia sa uskutočnila s 15 pacientkami. Liek Replagal sa hodnotil aj v ďalších štúdiách s 38 deťmi vo veku 7 rokov a staršími.

Aký prínos preukázal liek Replagal v týchto štúdiách?

Po 6 mesiacoch liečby liek Replagal významne znížil u pacientov mieru bolesti v porovnaní s placebom. Replagal znížil hmotnosť ľavej komory v priemere o 11,5 g, zatiaľ čo u pacientov liečených placebom sa zaznamenalo zvýšenie hmotnosti ľavej komory o 21,8 g. Účinky lieku boli porovnateľné u mužov aj u žien a nezistil sa prínos podávania lieku každý týždeň oproti štandardnému dávkovaniu. U detí liečených liekom Replagal nedošlo k neočakávanému zväčšeniu srdca a hladina Gb3 v krvi sa znížila.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Replagal?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Replagal (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú reakcie súvisiace s infúziou. Patrí sem triaška, bolesti hlavy, nauzea, pyrexia (horúčka), bolesť a nepríjemný pocit, návaly a únava a len zriedkavo majú závažný charakter. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Replagal a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Replagal povolený?

Výbor CHMP rozhodol, že liečba liekom Replagal môže mať pre pacientov s Fabryho chorobou dlhodobé klinické prínosy. Výbor CHMP rozhodol, že prínosy lieku Replagal sú väčšie než jeho riziká, a preto odporučil udeliť povolenie na uvedenie na trh.

Liek Replagal bol pôvodne povolený za mimoriadnych okolností, pretože choroba je zriedkavá a v čase povolenia bolo dostupné len obmedzené množstvo informácií. Keďže spoločnosť predložila ďalšie požadované informácie, tieto tzv. mimoriadne okolnosti sa 20. júla 2015 skončili.

Ďalšie informácie o lieku Replagal

Dňa 3. augusta 2001 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Replagal na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Replagal sa nachádza na webovej stránke agentúry:

[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Ak potrebujete

ďalšie informácie o liečbe liekom Replagal, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 06-2015