



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Fabrazyme

agalsidas beta

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Fabrazyme. Det förklarar hur Kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Fabrazyme?

Fabrazyme är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen agalsidas beta. Det finns som ett pulver som bereds till en infusionsvätska, lösning (ges som dropp i en ven).

Vad används Fabrazyme för?

Fabrazyme används för att behandla patienter som har Fabrys sjukdom, en sällsynt ärftlig sjukdom. Patienter med Fabrys sjukdom har brist på ett enzym som kallas alfa-galaktosidas A. Detta enzym bryter normalt ner en fettsubstans som kallas globotriaocylceramid (GL-3 eller Gb3). Om enzymet saknas kan GL-3 inte brytas ner och det lagras i cellerna, till exempel i njurcellerna.

Personer med Fabrys sjukdom kan ha en rad olika tecken och symtom, bland annat allvarliga tillstånd som njursvikt, hjärtproblem och stroke (slaganfall).

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Fabrazyme?

Endast läkare som har erfarenhet av behandling av patienter med Fabrys sjukdom eller andra ärftliga metaboliska sjukdomar får ge Fabrazyme.

Fabrazyme ges en gång varannan vecka som en infusion på 1 mg per kilo kroppsvikt. Den initiala infusionshastigheten ska inte överstiga 0,25 mg/min (15 mg/timme) för att minska risken för biverkningar av infusionen. Infusionshastigheten kan gradvis ökas under följande infusioner.

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



Fabrazyme är avsett för långvarig användning. Infusionerna ges på sjukhus men kan ges hemma om det visats att patienten tolererar infusionerna väl.

Hur verkar Fabrazyme?

Fabrazyme är en enzymersättningsbehandling. Enzymersättningsbehandling ger patienter det enzym de saknar. Fabrazyme är utformat för att ersätta det humana enzymet alfa-galaktosidas A, som saknas hos personer med Fabrys sjukdom. Den aktiva substansen i Fabrazyme, agalsidas beta, är en kopia av det humana enzymet och framställs med en metod som kallas rekombinant DNA-teknik. Detta innebär att det framställs av en cell som fått en gen (DNA) som gör att cellen kan producera enzymet. Ersättningsenzymet underlättar nedbrytningen av GL-3 och hindrar det från att ansamlas i cellerna.

Hur har Fabrazymes effekt undersökts?

Fabrazyme har undersökts i tre studier med totalt 73 vuxna. I huvudstudien jämfördes Fabrazyme med placebo (överksam behandling) hos 58 patienter. I studien undersöktes läkemedlets effekt när det gällde att ta bort GL-3 från njuren. Fabrazymes effekt prövades också på 16 barn mellan 8 och 16 år som hade Fabrys sjukdom.

Vilken nytta har Fabrazyme visat vid studierna?

I huvudstudien gav Fabrazyme en mycket markant och nästan fullständig eliminering av GL-3 i njurcellerna efter 20 veckors behandling. 69 procent av patienterna som behandlades med Fabrazyme hade de bästa talen för eliminering jämfört med ingen av patienterna i placebogruppen.

Barn som behandlades med Fabrazyme fick också minskade GL-3-nivåer i blodet. Efter 20 veckors behandling hade samtliga barn normala nivåer. Symtomen och livskvaliteten förbättrades till följd av detta.

Vilka är riskerna med Fabrazyme?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Fabrazyme (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) beror på infusionen snarare än läkemedlet. Biverkningarna omfattar bland annat feber, frossbrytningar, huvudvärk, parestesi (onormala känselphenomen som stickningar), illamående, kräkningar och frusenhet. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Fabrazyme finns i bipacksedeln.

Fabrazyme får inte ges till personer som är överkänsliga (allergiska) mot agalsidas beta eller något annat innehållsämne.

Varför har Fabrazyme godkänts?

CHMP fann att behandling med Fabrazyme kan ge långvariga kliniska fördelar för patienter med Fabrys sjukdom. Kommittén fann att nyttan med Fabrazyme är större än riskerna och rekommenderade att Fabrazyme skulle godkännas för försäljning.

Mer information om Fabrazyme

Den 3 augusti 2001 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Fabrazyme som gäller i hela Europeiska unionen.

Det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Mer information

om behandling med Fabrazyme finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 02-2013.