



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Резюме на EPAR за обществено ползване

---

# Fabrazyme

## agalsidase beta

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Fabrazyme. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Fabrazyme.

### Какво представлява Fabrazyme?

Fabrazyme е лекарство, което съдържа активното вещество агалсидаза бета (*agalsidase beta*). Предлага се под формата на разтвор за приготвяне на венозен инфузионен разтвор (вливане).

### За какво се използва Fabrazyme?

Fabrazyme се използва за лечение на пациенти с болестта на Фабри, рядко наследствено заболяване. Пациентите с болестта на Фабри нямат достатъчно количество от ензима алфа-галактозидаза А. Този ензим обикновено разгражда мастното вещество глоботриаозилцерамид (GL-3 или **Gb3**). Ако ензимът отсъства, GL-3 не може да бъде разграден и се натрупва в клетките, например в бъбречните клетки.

Хората с болестта на Фабри могат да имат много на брой признаци и симптоми, включително тежки състояния като бъбречна недостатъчност, сърдечни проблеми и удар.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

### Как се използва Fabrazyme?

Лечението с Fabrazyme трябва да се извършва единствено от лекар, притежаващ опит в лечението на пациенти с болестта на Фабри или други наследствени метаболитни заболявания.

Fabrazyme се прилага веднъж на всеки две седмици като инфузия от 1 mg на килограм телесно тегло. Първоначалната скорост на инфузията не трябва да надвишава 0,25 mg на минута (15 mg



на час), за да се сведе до минимум рискът от поява на нежелани лекарствени реакции, свързани с инфузията. Скоростта на инфузията може да бъде увеличавана постепенно при следващите инфузии. Fabrazyme е предназначен за продължителна употреба. Инфузиите се правят в болница, но е възможно прилагането им и в домашни условия, ако е установено, че пациентът понася добре инфузиите.

## **Как действа Fabrazyme?**

Fabrazyme е ензимозаместваща терапия. Ензимозаместващата терапия осигурява на пациентите ензима, който им липсва. Fabrazyme е предназначен да замени човешкия ензим алфагалактозидаза А, който липсва при хората с болестта на Фабри. Активното вещество във Fabrazyme, алагидаза бета, е една от формите на човешкия ензим, произвеждан по метод, познат като „рекомбинантна ДНК технология“ от клетки, получили ген (ДНК), който ги прави способни да произведат ензима. Заместващият ензим помага да се разгради GL-3 и да се спре натрупването му в клетките.

## **Как е проучен Fabrazyme?**

Fabrazyme е проучен в три проучвания при общо 73 възрастни. При основното проучване Fabrazyme е сравнен с плацебо (сляпо лечение) при 58 пациенти. Проучването разглежда ефекта от лекарството върху бъбречния клирънс на GL-3. Ефективността на Fabrazyme е проучена също при 16 деца на възраст между осем и 16 години с болестта на Фабри.

## **Какви ползи от Fabrazyme са установени в проучванията?**

При основното проучване Fabrazyme предизвиква значим и почти пълнен бъбречен клирънс на GL-3 в бъбречните клетки след 20-седмично лечение: 69% от пациентите, лекувани с Fabrazyme, имат най-добрите резултати по отношение на клирънса в сравнение с нито един от пациентите от групата, получавала плацебо.

Децата, лекувани с Fabrazyme, също показват намаление в нивата на GL-3 в кръвта, като всички деца имат нормални нива след 20 седмици лечение. Това е придружено с подобрение на симптомите и качеството на живот.

## **Какви са рисковете, свързани с Fabrazyme?**

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Fabrazyme (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са причинени по-скоро от инфузията, отколкото от лекарството. Тези реакции включват повишена температура, студени тръпки, главоболие, парестезия (ненормални усещания, като вцепеняване или изтръпване на крайниците), гадене (позиви за повръщане), повръщане и усещане за студ. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Fabrazyme, вижте листовката.

Fabrazyme не трябва да се прилага при хора, които са свръхчувствителни (алергични) към алагидаза бета или към някоя от останалите съставки.

## **Защо Fabrazyme е разрешен за употреба?**

СНМР реши, че при пациентите с болестта на Фабри лечението с Fabrazyme може да доведе до дългосрочни клинични ползи. СНМР реши, че ползите от Fabrazyme са по-големи от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

## **Допълнителна информация за Fabrazyme:**

На 3 август 2001 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Fabrazyme, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR относно Fabrazyme може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). За повече информация относно лечението с Fabrazyme прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Дата на последно актуализиране на текста 02-2013.