



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Fabrazyme

agalsidaži beta

Dan id-dokument huwa sommarju tar-Rapport Pubbliku Ewropew ta' Valutazzjoni (EPAR) għal Fabrazyme. Dan jispjega kif il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iwwaluta l-mediċina sabiex wasal għall-opinjoni favorevoli tiegħu li tingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq u r-rakkomandazzjonijiet tiegħu dwar il-kondizzjonijiet ta' użu għal Fabrazyme.

X'inhum Fabrazyme?

Fabrazyme huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva agalsidaži alfa. Jiġi bħala trab li jithallat f'soluzzjoni għal infużjoni (drupp) fil-vina.

Għal xiex jintuża Fabrazyme?

Fabrazyme jintuża biex jitratta pazjenti li jbatu mill-marda ta' Fabry, marda rari li tintiret. Il-pazjenti li jbatu bil-marda ta' Fabry ikollhom nuqqas tal-enzima msejja alfa-galattosidażi A (alpha-galactosidase A). Din l-enzima normalment tkisser is-sustanza xaħmija msejja globotrijaosilċeramide (globotriaosylceramide) (GL-3 jew Gb3). Jekk din l-enzima ma tkunx preżenti, il-GL-3 ma tkunx tista' titkisser u tingema' fiċ-ċelloli tal-ġisem, bħal dawk tal-kliwi.

Il-persuni li jbatu minn din il-marda jista' jkollhom firxa sħiħa ta' sinjali u sintomi, li jinkludu kundizzjonijiet gravi bħal insuffiċjenza renali, problemi fil-qalb u attakki ta' puplesija.

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'ricetta ta' tabib.

Kif jintuża Fabrazyme?

Fabrazyme għandu jingħata biss minn tabib li jkollu l-esperjenza fil-kura ta' pazjenti bil-marda ta' Fabry jew b'mard metaboliku ieħor li jintiret.

Fabrazyme jingħata darba kull ġimagħtejn bħala infużjoni ta' 1 mg għal kull kilogramm piż tal-ġisem. Ir-rata tal-bidu tal-infużjoni ma għandhiex tkun ogħla minn 0.25 mg kull minuta (15 mg kull siegħa)



biex jitnaqqas ir-riskju ta' effetti sekondarji relatati mal-infużjoni. Ir-rata tal-infużjoni tista' tizzied gradwalment meta jingħataw aktar infużjonijiet.

Fabrazyme huwa maħsub għal użu fit-tul. L-infużjonijiet jingħataw fi sptar iżda dawn jistgħu jingħataw id-dar jekk il-pazjent ikun wera li qed jittollera l-infużjonijiet bla problemi.

Kif jaħdem Fabrazyme?

Fabrazyme hu terapija enzimatika sostituttiva. Din it-tip ta' terapija tagħti lill-pazjenti l-enzima li jkunu neqsin minnha. Fabrazyme hu maħsub sabiex jissostitwixxi l-enzima umana alfa galattosidaže A, li hi nieqsa fil-pazjenti li jbatu mill-marda ta' Fabry. Is-sustanza attiva f'Fabrazyme, l-agalsidaži beta, hija kopja tal-enzima umana li tinħadem b'metodu magħruf bħala 'teknoloġija rikombinanti tad-DNA': hija magħmula minn ċelloli li jkunu rċevew ġene (DNA), li jagħmilhom kapaċi jipproduċu l-enzima. L-enzima sostituttiva tgħin it-tkissir tal-GL-3 u twaqqfha milli tingema' fiċ-ċelluli tal-pazjent.

Kif ġie studjat Fabrazyme?

Fabrazyme ġie studjat fi tliet studji li involvew total ta' 73 adult. FI-istudju prinċipali, Fabrazyme tqabbel ma' plaċebo (trattament finta) fi 58 pazjent. L-istudju eżamina l-effett tal-mediċini fuq it-tneħħija tal-GL-3 mill-kilwa. L-effikaċja ta' Fabrazyme ġiet ukoll ittestjata f'16-il tifel u tifla ta' bejn tmien snin u 16-il sena li jbatu bil-marda ta' Fabry.

X'benefiċċji wera Fabrazyme matul dawn l-istudji?

FI-istudju prinċipali, Fabrazyme neħħa b'mod sinifikanti ħafna u kważi komplut il-GL-3 miċ-ċelluli tal-kliwi wara 20 ġimgħa trattament: 69% tal-pazjenti ttrattati b'Fabrazyme irreġistraw l-aħjar livelli ta' tneħħija, meta mqabbla mal-qagħda tal-pazjenti tal-grupp tal-plaċebo li fih ma ġie rreġistrat l-ebda effett.

Tfal ikkurati b'Fabrazyme ukoll kellhom tnaqqis fil-livelli tal-GL-3 fid-demmm, bit-tfal kollha jkollhom livelli normali wara 20 ġimgħa kura. Dan kien akkumpanjat b'titjib fis-sintomi u fil-kwalità tal-ħajja.

X'inhu r-riskju assoċjat ma' Fabrazyme?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni bl-użu ta' Fabrazyme (li dehru f'aktar minn pazjent 1 minn 10) jiġu kkawżati mill-infużjoni aktar milli mill-mediċina nfisha. Dawn jinkludu deni, irjiħat, uġiġħ ta' ras, paraestesija (sensazzjonijiet anomali bħat-tnemnim), nawżja (dardir), remettar, fwawar u bard. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrappurtati b'Fabrazyme, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Fabrazyme ma għandux jintuża minn persuni li jistgħu jkunu ipersensittivi (allergjiċi) għall-agalsidaži beta jew għal xi ingredjenti oħra tiegħu.

Għaliex ġie approvat Fabrazyme?

Is-CHMP ddecieda li, f'pazjenti morda bil-marda ta' Fabry, il-kura b'Fabrazyme tista' tipprovdi benefiċċji kliniċi fit-tul. Is-CHMP iddecieda li l-benefiċċji ta' Fabrazyme huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Tagħrif ieħor dwar Fabrazyme

II-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Fabrazyme fit-3 ta' Awwissu 2001.

L-EPAR s'hih għal Fabrazyme jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Fabrazyme, aqra l-fuljett ta' tagħrif (huwa parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar f'02-2013.