



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Fabrazyme

betaagalzidáza

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Fabrazyme. 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 Fabrazyme.

Čo je liek Fabrazyme?

Liek Fabrazyme je liek, ktorý obsahuje účinnú látku betaagalzidázu. Je dostupný vo forme prášku, z ktorého sa pripravuje infúzny roztok (na kvapkanie do žily).

Na čo sa liek Fabrazyme používa?

Liek Fabrazyme sa používa na liečbu pacientov s Fabryho chorobou, čo je zriedkavá dedičná porucha. Pacienti s Fabryho chorobou majú nedostatok enzýmu alfa-galaktosidázy A. Tento enzým zvyčajne rozkladá masťnú látku nazývanú globotriaosylceramid (GL-3 alebo Gb3). Ak tento enzým chýba, GL-3 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 stavov, ako je napríklad zlyhanie obličiek, problémy so srdcom a mozgová mŕtvica.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Fabrazyme užíva?

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

Liek Fabrazyme sa podáva raz za dva týždne vo forme infúzie v dávke 1 mg na kilogram telesnej hmotnosti. Prvá infúzia sa nemá podávať rýchlejšie ako 0,25 mg za minútu (15 mg/hodinu), aby sa



znížilo riziko vedľajších účinkov spojených s infúziou. Pri ďalších infúziách sa rýchlosť môže postupne zvyšovať.

Liek Fabrazyme je určený na dlhodobé užívanie. Infúzie sa podávajú v nemocnici, môžu sa však podávať aj doma, ak sa preukázalo, že pacient dobre toleruje infúzie.

Akým spôsobom liek Fabrazyme účinkuje?

Liek Fabrazyme sa používa ako enzýmová substitučná liečba. Touto liečbou sa pacientom dodáva chýbajúci enzým. Liek Fabrazyme bol vyvinutý tak, aby nahradil ľudský enzým alfa-galaktosidázu A, ktorý chýba osobám s Fabryho chorobou. Účinná látka lieku Fabrazyme, beta-galaktosidáza, je kópiou ľudského enzýmu a vyrába sa tzv. technológiou rekombinantnej DNA: vytvárajú ho bunky, do ktorých bol vložený gén (DNA), a preto môžu produkovať tento enzým. Náhradný enzým pomáha rozkladať GL-3 a zabraňuje hromadeniu tejto látky v bunkách pacienta.

Ako bol liek Fabrazyme skúmaný?

Liek Fabrazyme bol skúmaný v troch štúdiách u celkovo 73 dospelých. V hlavnej štúdii sa liek Fabrazyme porovnával s placebom (zdanlivým liekom) u 58 pacientov. V štúdii sa sledovali vplyvy lieku na odstraňovanie GL-3 z obličiek. Účinok lieku Fabrazyme sa testoval aj na 16 deťoch vo veku od osem do 16 rokov, ktoré mali Fabryho chorobu.

Aký prínos preukázal liek Fabrazyme v týchto štúdiách?

V hlavnej štúdii pôsobenie lieku Fabrazyme malo po 20 týždňoch liečby za následok veľmi významné a takmer úplné odstránenie GL-3 z buniek v obličkách: u 69 % pacientov liečených liekom Fabrazyme sa zaznamenali najlepšie výsledky pri odstraňovaní v porovnaní so skupinou liečenou placebom, v ktorej sa ani u jedného pacienta takéto výsledky nezaznamenali.

U detí liečených liekom Fabrazyme tiež došlo k poklesu hladiny GL-3 v krvi, pričom všetky deti mali po 20 týždňoch liečby normálne hodnoty. Tieto výsledky boli sprevádzané zmiernením príznakov a zlepšením kvality života.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Fabrazyme?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Fabrazyme (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú spôsobené skôr infúziou ako liekom. Patrí sem horúčka, triaška, bolesť hlavy, parestézia (abnormálne pocity, napríklad mravčenie), nauzea (nevoľnosť), vracanie a pocit chladu. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Fabrazyme sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Liek Fabrazyme sa nesmie podávať osobám, ktoré sú precitlivené (alergické) na beta-galaktosidázu alebo na iné zložky lieku.

Prečo bol liek Fabrazyme povolený?

Výbor CHMP rozhodol, že liečba liekom Fabrazyme môže mať pre pacientov s Fabryho chorobou dlhodobý klinický prínos. Výbor CHMP rozhodol, že prínosy lieku Fabrazyme sú väčšie než riziká, ktoré sa spájajú s jeho používaním, a odporučil udeliť povolenie na uvedenie na trh.

Ďalšie informácie o lieku Fabrazyme

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

Úplné znenie správy EPAR o lieku Fabrazyme 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 Fabrazyme, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 02-2013