



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Fabrazyme

## agalsidase beta

Questo è il riassunto di una relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Fabrazyme. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Fabrazyme.

### Che cos'è Fabrazyme?

Fabrazyme è un medicinale che contiene il principio attivo agalsidase beta. È disponibile sotto forma di polvere per la preparazione di una soluzione per infusione (flebo in una vena).

### Per che cosa si usa Fabrazyme?

Fabrazyme viene utilizzato per trattare pazienti affetti da malattia di Fabry, una rara patologia ereditaria. I pazienti che soffrono di questa malattia presentano una carenza dell'enzima denominato  $\alpha$ -galattosidasi A. Tale enzima normalmente scompone il lipide denominato globotriaosilceramide (GL-3 o Gb3)). Se tale enzima è carente, il GL -3 non può essere scomposto e si accumula nelle cellule del corpo, ad esempio in quelle renali.

I pazienti affetti da questa malattia presentano un'ampia sintomatologia, che include disturbi gravi, come l'insufficienza renale, problemi cardiaci e ictus.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

### Come si usa Fabrazyme?

Il trattamento con Fabrazyme deve essere somministrato sotto controllo di un medico esperto nella gestione dei pazienti affetti da malattia di Fabry o da altre patologie metaboliche ereditarie.

Il medicinale è somministrato sotto forma di infusione da 1 mg per chilogrammo di peso corporeo una volta ogni due settimane. L'iniziale tasso di infusione non deve superare 0,25 mg/min (15 mg/ora), per



ridurre il rischio di reazioni connesse all'infusione. È possibile accrescere gradualmente il tasso di infusione nelle successive infusioni.

Fabrazyme è indicato per uso a lungo termine. Le infusioni vengono somministrate in ospedale, ma possono essere somministrate anche a casa se è stato mostrato che il paziente le tollera bene.

### **Come agisce Fabrazyme?**

Fabrazyme è una terapia enzimatica sostitutiva. Tale tipo di terapie fornisce ai pazienti l'enzima di cui sono deficitari. Fabrazyme è destinato a sostituire l'enzima  $\alpha$ -galattosidasi A, di cui sono carenti le persona affette dalla malattia di Fabry. Il principio attivo di Fabrazyme è l'agalsidasi beta, una copia della forma umana dell'enzima prodotta attraverso una metodologia nota come "tecnologia del DNA ricombinante": viene cioè ottenuta da cellule in cui è stato immesso un gene (DNA) che consente loro di produrre tale enzima. Tale enzima sostitutivo favorisce la scomposizione del GL-3 impedendone la formazione nelle cellule.

### **Quali studi sono stati effettuati su Fabrazyme?**

Fabrazyme è stato esaminato in tre studi cui hanno partecipato 73 adulti. Nello studio principale, Fabrazyme è stato confrontato con un placebo (un trattamento fittizio) in 58 pazienti. Lo studio ha esaminato l'effetto del medicinale sull'eliminazione del GL-3 dalle cellule renali. L'efficacia di Fabrazyme è stata testata anche in 16 bambini di età compresa tra 8 e 16 anni affetti dalla malattia di Fabry.

### **Quali benefici ha mostrato Fabrazyme nel corso degli studi?**

Nello studio principale, Fabrazyme ha prodotto una depurazione assai significativa e quasi completa di GL-3 nelle cellule dei reni dopo 20 settimane di trattamento: il 69% dei pazienti trattati con Fabrazyme ha registrato i migliori livelli di eliminazione del lipide, rispetto ad effetti nulli riscontrati nel gruppo placebo.

Anche i bambini trattati con Fabrazyme hanno registrato cali dei livelli di GL-3 nel sangue, con tutti i bambini con livelli normali dopo 20 settimane di trattamento. Ciò è stato accompagnato da miglioramenti nei sintomi e nella qualità di vita.

### **Qual è il rischio associato a Fabrazyme?**

Gli effetti indesiderati più comuni (riscontrati in più di un paziente su 10) sono causati dall'infusione piuttosto che dal medicinale stesso. Tra questi si annoverano febbre, brividi, cefalea, parestesia (disturbi della sensibilità come formicolii e pizzicore) nausea, vomito e sensazioni di freddo. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Fabrazyme, vedere il foglio illustrativo.

Fabrazyme non deve essere utilizzato in soggetti che sono ipersensibili (allergici) all'agalsidasi beta o a uno qualsiasi degli altri ingredienti.

### **Perché è stato approvato Fabrazyme?**

Il CHMP ha deciso che, per i pazienti affetti dalla malattia di Fabry, il trattamento con Fabrazyme può arrecare dei benefici clinici a lungo termine. Il CHMP ha deciso che i benefici di Fabrazyme sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

## **Altre informazioni su Fabrazyme**

Il 3 agosto 2001 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Fabrazyme, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Fabrazyme consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Fabrazyme, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 02-2013.