



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Fabrazyme

## agalsidasa beta

En el presente documento se resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Fabrazyme. En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización y unas recomendaciones sobre las condiciones de su uso.

### ¿Qué es Fabrazyme?

Fabrazyme es un medicamento que contiene el principio activo agalsidasa beta. Se presenta en forma de polvo con el que se prepara una solución para perfusión.

### ¿Para qué se utiliza Fabrazyme?

Fabrazyme se utiliza para tratar a pacientes con la enfermedad de Fabry, un raro trastorno hereditario. Los pacientes con la enfermedad de Fabry carecen de la cantidad suficiente de una enzima llamada alfa-galactosidasa A. En condiciones normales, esta enzima descompone una sustancia grasa denominada globotriaosilceramida (Gb3 o GL3). A falta de dicha enzima, GL3 no puede descomponerse y se acumula en las células, por ejemplo las células renales.

Las personas aquejadas de la enfermedad de Fabry pueden presentar una extensa gama de signos y síntomas, incluidas enfermedades graves como fallo renal, problemas cardíacos y apoplejía.

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.

### ¿Cómo se usa Fabrazyme?

Fabrazyme sólo debe ser administrado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con la enfermedad de Fabry u otras enfermedades metabólicas hereditarias.

Fabrazyme se utiliza en perfusión de 1 mg por kilogramo de peso corporal, una vez cada dos semanas. El ritmo de perfusión inicial no debe ser mayor de 0,25 mg por minuto (15 mg por hora) para reducir



el riesgo de efectos secundarios relacionados con la perfusión. La velocidad de perfusión puede aumentarse gradualmente en las perfusiones posteriores.

Fabrazyme está concebido para una utilización prolongada. Las infusiones se administran en el hospital, pero también pueden administrarse en casa si el paciente las tolera bien.

## **¿Cómo actúa Fabrazyme?**

Fabrazyme es una terapia de sustitución enzimática. Las terapias de sustitución enzimáticas aportan a los pacientes la enzima de que carecen. Fabrazyme está ideado para sustituir a la enzima humana alfa-galactosidasa A, de la que carecen las personas con la enfermedad de Fabry. El principio activo de Fabrazyme, agalsidasa beta, es una copia de la enzima humana, producida por un método conocido como "tecnología del ADN recombinante". es fabricada por células que han recibido un gen (ADN) que les permite producirla. La enzima de sustitución contribuye a descomponer el GL3 y detiene su acumulación en las células.

## **¿Qué tipo de estudios se han realizado con Fabrazyme?**

Fabrazyme ha sido estudiado en cinco estudios efectuados en un total de 73 adultos. En el estudio principal, Fabrazyme se comparó con un placebo (tratamiento falso) en 58 pacientes. El estudio determinó el efecto del medicamento en liberar el GL-3 del riñón. También se comprobó la seguridad de Fabrazyme en 16 niños con edades comprendidas entre ocho y 16 años con la enfermedad de Fabry.

## **¿Qué beneficio ha demostrado tener Fabrazyme durante los estudios?**

En el estudio principal, Fabrazyme produjo una eliminación altamente significativa y casi total de GL-3 en las células renales después de 20 semanas de tratamiento, obteniendo un 69% de los pacientes tratados con Fabrazyme la mejor puntuación con respecto a la eliminación, frente a ninguno de los pacientes del grupo placebo.

Los niños tratados con Fabrazyme también tenían un menor nivel de GL-3 en sangre, alcanzando todos ellos niveles normales a las 20 semanas de tratamiento. Esto determinó una mejoría de los síntomas y de la calidad de vida de los niños.

## **¿Cuál es el riesgo asociado a Fabrazyme?**

Los efectos adversos más frecuentes de Fabrazyme (observados en más un paciente de cada 10) los provocó la perfusión más que el medicamento en sí. Entre estos efectos secundarios se incluyen cefalea, parestesias (sensaciones anormales, como hormigueo), náuseas (sensación de malestar), vómitos, enrojecimiento y sensación de frío. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Fabrazyme, ver el prospecto.

Fabrazyme no debe utilizarse en personas que puedan ser hipersensibles (alérgicas) al agalsidase beta o a cualquier otro de sus componentes.

## **¿Por qué se ha aprobado Fabrazyme?**

El CHMP decidió que, para pacientes con la enfermedad de Fabry, el tratamiento con Fabrazyme podría proporcionar beneficios clínicos a largo plazo. El Comité decidió que los beneficios de Fabrazyme son mayores que sus riesgos y recomendó que se autorizara su comercialización.

## Otras informaciones sobre Fabrazyme

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Fabrazyme el 3 de agosto de 2001.

El EPAR completo de Fabrazyme se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Para más información sobre el tratamiento con Fabrazyme, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 02-2013.