



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/396624/2015  
EMEA/H/C/000369

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Replagal

agalsidasa alfa

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Replagal. 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 Replagal?

Replagal es un medicamento que contiene el principio activo agalsidasa alfa y se presenta en forma de concentrado con el que se prepara una solución para perfusión (gotero intravenoso).

### ¿Para qué se utiliza Replagal?

Replagal se utiliza para tratar a pacientes aquejados de la enfermedad de Fabry, un trastorno hereditario poco frecuente. Quienes sufren 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, la Gb3 no puede descomponerse y se acumula en las células del organismo, 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 Replagal?

Únicamente un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con la enfermedad de Fabry u otras enfermedades metabólicas hereditarias debe administrar Replagal.

Replagal se administra en perfusión de 0,2 mg/kg de peso corporal, durante 40 minutos, una vez cada 2 semanas. Es un medicamento destinado a un uso a largo plazo.



## ¿Cómo actúa Replagal?

Replagal es una terapia de sustitución enzimática, es decir, que aporta al paciente la enzima que le falta. Replagal sustituye a la enzima humana alfa-galactosidasa A, de la que carecen las personas con la enfermedad de Fabry. El principio activo de Replagal, agalsidasa alfa, es una copia de la enzima humana, producida por un método conocido como "tecnología del ADN recombinante". La enzima es producida por una célula humana que ha recibido un gen (ADN) que la hace capaz de fabricarla. La enzima de sustitución contribuye a descomponer la Gb3 y detiene su acumulación en las células.

## ¿Qué tipo de estudios se han realizado con Replagal?

Replagal se comparó con un placebo (tratamiento ficticio) en dos estudios principales con un total de 40 pacientes varones. En el primer estudio se midieron los efectos de Replagal sobre el dolor, y en el segundo se midió su efecto sobre la masa del ventrículo izquierdo (músculo del corazón), una medida de la cantidad de Gb3 en las células del corazón. También se investigó el efecto de administrar la dosis semanalmente en lugar de cada dos semanas. Se realizó otro ensayo en 15 mujeres. Replagal también se evaluó en estudios adicionales en los que participaron 38 niños a partir de los 7 años de edad.

## ¿Qué beneficio ha demostrado tener Replagal durante los estudios?

Tras seis meses de tratamiento, comparado con un placebo, Replagal redujo de forma significativa el dolor de los pacientes. Replagal redujo la masa del ventrículo izquierdo un promedio de 11,5 g, mientras que los pacientes tratados con placebo experimentaron un incremento de la masa ventricular de 21,8 g. Los efectos en mujeres fueron equiparables a los observados en varones y la dosificación semanal no presentaba ventajas añadidas respecto a las dosis estándar. Los niños tratados con Replagal durante 6 meses no experimentaron aumento de la masa del corazón, y se redujeron sus niveles de Gb3 en la sangre.

## ¿Cuál es el riesgo asociado a Replagal?

Los efectos adversos más frecuentes de Replagal (observados en más 1 paciente de cada 100) son las reacciones asociadas a la perfusión, como escalofríos, dolor de cabeza, náuseas, pirexia (fiebre), dolor y molestias, sofocos y fatiga, y rara vez son graves. Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones de Replagal, ver el prospecto.

## ¿Por qué se ha aprobado Replagal?

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

En un principio, Replagal fue autorizado en «circunstancias excepcionales» ya que, por tratarse de una enfermedad rara, se disponía de información limitada sobre el medicamento en el momento de su autorización. Dichas «circunstancias excepcionales» dejaron de aplicarse el 20 de julio de 2015, una vez la empresa presentó la información complementaria que se le había solicitado.

## Otras informaciones sobre Replagal

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

El EPAR completo de Replagal 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/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports) Para mayor información sobre el tratamiento con Replagal, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 06-2015