



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240094/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidasa alfa*)

Información general sobre Elfabrio y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Elfabrio y para qué se utiliza?

Elfabrio es un medicamento que se utiliza en adultos para tratar la enfermedad de Fabry, un trastorno hereditario raro. Los pacientes con la enfermedad de Fabry no tienen una cantidad suficiente de una enzima, llamada alfa-galactosidasa A, que normalmente descompone una sustancia grasa denominada globotriaosilceramida (Gb3). Cuando no está presente esta enzima, la Gb3 no puede descomponerse y se acumula en los órganos, como el riñón y el corazón, provocando insuficiencia renal y problemas cardíacos.

Elfabrio contiene el principio activo pegunigalsidasa alfa.

¿Cómo se usa Elfabrio?

Elfabrio solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de la enfermedad de Fabry.

Elfabrio se presenta en forma de perfusión (goteo) en una vena, que se administra una vez cada dos semanas. Está destinado a un uso prolongado. Todos los pacientes deben ser observados para detectar cualquier reacción durante la perfusión y, como mínimo, entre una y dos horas después de esta. Para reducir el riesgo de reacciones relacionadas con la perfusión, se pueden administrar a los pacientes otros medicamentos antes o durante el tratamiento con Elfabrio o ralentizar el tiempo de perfusión. Las perfusiones se administran en el hospital, pero pueden administrarse a domicilio si el paciente las tolera bien.

Si desea más información sobre el uso de Elfabrio, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Elfabrio?

Elfabrio es un tratamiento de sustitución enzimática. Este tipo de tratamiento proporciona a los pacientes la enzima que les falta. Elfabrio está diseñado para sustituir a la enzima humana alfa-galactosidasa A, de la que carecen los pacientes con la enfermedad de Fabry. El principio activo de Elfabrio, la pegunigalsidasa alfa, es una copia de la enzima humana, producida por un método



conocido como «tecnología del ADN recombinante»: se obtiene de células que han recibido un gen (ADN) que las hace capaz de fabricar dicha enzima. La enzima de sustitución ayuda a descomponer la Gb-3 e impide que se acumule en las células del paciente.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Elfabrio en los estudios realizados?

Los beneficios de Elfabrio se evaluaron en un estudio principal en el que participaron 78 pacientes con la enfermedad de Fabry. En el estudio se comparó Elfabrio con Fabrazyme, otra terapia de sustitución enzimática utilizada para tratar a pacientes con la enfermedad de Fabry. El criterio principal de valoración de la eficacia se basó en la tasa de filtración glomerular (TFG; una medida del funcionamiento de los riñones), que disminuye a medida que la función renal del paciente empeora. La TFG media se redujo en 2,5 ml/min/1,73 m² al año después de 12 y 24 meses de tratamiento con Elfabrio, en comparación con 1,7 ml/min/1,73 m² y 2,2 ml/min/1,73 m² en los pacientes que recibieron Fabrazyme. Los datos de apoyo mostraron una disminución significativa de los niveles de Gb3 en los riñones y la sangre de los pacientes tratados con Elfabrio.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Elfabrio?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Elfabrio se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Elfabrio (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son hipersensibilidad (reacciones alérgicas), astenia (debilidad) y reacciones asociadas a la perfusión.

Las personas que reciben Elfabrio pueden presentar reacciones alérgicas, como una contracción excesiva y prolongada de los músculos de las vías respiratorias que produce dificultad para respirar (broncoespasmo).

¿Por qué se ha autorizado Elfabrio en la UE?

La Agencia consideró que la eficacia de Elfabrio estaba respaldada por la naturaleza del principio activo, en concreto, por el hecho de que es una forma pegilada de la enzima natural, y también por el mecanismo de acción bien establecido de la terapia de sustitución enzimática en el tratamiento de la enfermedad de Fabry. Los resultados del estudio principal mostraron una disminución significativa de los niveles de Gb3 tanto en los riñones como en la sangre de los pacientes tratados con Elfabrio. Debido a las limitaciones en el diseño del estudio, especialmente el pequeño número de pacientes incluidos, los resultados del estudio principal no demostraron de forma concluyente que Elfabrio fuera al menos tan eficaz como Fabrazyme.

Además, los efectos adversos de Elfabrio, que están relacionados principalmente con la perfusión, se consideran controlables. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Elfabrio eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Elfabrio?

La empresa que comercializa Elfabrio proporcionará materiales educativos a los pacientes o sus cuidadores y a los profesionales sanitarios, con información sobre el modo de administrar correctamente el producto en el entorno doméstico.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Elfabrio se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Elfabrio se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Elfabrio se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Elfabrio

Elfabrio recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 4 de mayo de 2023.

Puede encontrar más información sobre Elfabrio en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elfabrio.

Fecha de la última actualización de este resumen: 05-2023.