

## **Короткий опис плану управління ризиками для препарату ФАБРАЗІМ (бета-агалсидаза)**

Це резюме ПУР для препарату ФАБРАЗІМ. ПУР докладно описує важливі ризики, що виникають під час застосування препарату ФАБРАЗІМ, варіанти мінімізації цих ризиків і варіанти отримання більшої кількості інформації про ризики, а також невизначеність (відсутність інформації), пов'язані із застосуванням препарату ФАБРАЗІМ.

У короткій характеристиці препарату ФАБРАЗІМ (КХЛЗ) та Інструкції для медичного застосування лікарського засобу надана необхідна інформація медичним працівникам і пацієнтам щодо належного застосування препарату ФАБРАЗІМ.

Це резюме ПУР для препарату ФАБРАЗІМ потрібно розглядати в контексті всієї цієї інформації, включно зі звітом про оцінку і його коротким викладом зрозумілою мовою, що є частиною Європейського публічного звіту з оцінювання лікарських засобів (EPAR).

Важливі нові проблеми або зміни до наявних буде додано в оновлення ПУР для препарату ФАБРАЗІМ.

### **VI.1. ЛІКАРСЬКИЙ ЗАСІБ ТА ПОКАЗАННЯ ДО ЗАСТОСУВАННЯ**

Як діючу речовину препарат ФАБРАЗІМ містить бета-агалсидазу і використовується в якості замісної ферментативної терапії при хворобі Фабрі, коли активність ферменту  $\alpha$ -галактозидази відсутня або нижче норми. Якщо ви страждаєте хворобою Фабрі, жирова речовина, що називається глоботріаозилцерамід (GL-3), не виводиться з клітин вашого організму і починає накопичуватися в стінках кровоносних судин ваших органів.

ФАБРАЗІМ показаний для довготривалої ферментозамісної терапії у пацієнтів із підтвердженим діагнозом хвороби Фабрі (дефіциту  $\alpha$ -галактозидази А). ФАБРАЗІМ показаний дорослим, дітям і підліткам у віці 8 років і старше. Як діючу речовину він містить агалсидазу бета та вводиться шляхом внутрішньовенної інфузії.

Додаткову інформацію про оцінку переваг застосування препарату ФАБРАЗІМ можна знайти у відповідному EPAR, у тому числі його короткий виклад зрозумілою мовою, доступний на вебсайті Європейської агенції лікарських засобів (EMA), на веб-сторінці «лікарські засоби»:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/fabrazyme>

### **VI.2. РИЗИКИ, ПОВ'ЯЗАНІ З ВИКОРИСТАННЯМ ПРЕПАРАТУ, ТА ЗАХОДИ, СПРЯМОВАНІ НА МІНІМІЗАЦІЮ АБО ПОДАЛЬШУ ДЕТАЛІЗАЦІЮ РИЗИКІВ**

У наступних розділах наведено важливі ризики, що виникають під час застосування препарату ФАБРАЗІМ, разом із заходами з мінімізації таких ризиків і запропонованими дослідженнями, спрямованими на отримання докладнішої інформації про ризики, що виникають під час застосування препарату ФАБРАЗІМ.

Заходами з мінімізації ризиків, визначеними для лікарських засобів, можуть бути:

- конкретна інформація, зокрема попередження, запобіжні заходи та поради щодо правильного використання, зазначена в інструкції для медичного застосування лікарського засобу та КХЛЗ, призначених для пацієнтів і співробітників галузі охорони здоров'я;

- важливі поради на упаковці лікарського засобу;
- дозволений розмір упаковки — кількість лікарського засобу в упаковці обирається таким чином, щоб забезпечити його правильне застосування;
- категорія відпуску препарату — спосіб відпуску лікарського засобу пацієнту (наприклад, за рецептом або без рецепта) може допомогти мінімізувати ризики, пов'язані з його застосуванням.

Разом ці заходи становлять рутинні заходи з мінімізації ризиків.

Стосовно всіх торгових назв препарату ФАБРАЗІМ ці заходи підкріплюються додатковими заходами з мінімізації ризиків, які зазначено як відповідні важливі ризики й описано в наступних розділах.

Окрім цих заходів, постійно збирається та регулярно аналізується інформація про небажані реакції, включно з регулярно оновлюваними звітами з безпеки лікарських засобів (PSUR), щоб у разі потреби вжити негайних заходів. Із цих заходів складається рутинна діяльність із фармаконагляду.

Якщо наразі відсутня важлива інформація, яка може вплинути на безпечне застосування препарату ФАБРАЗІМ, це зазначається в частині «відсутня інформація», описаній в наступному розділі.

### VI.2.1. Перелік важливих ризиків та відсутня інформація

Важливими ризиками, пов'язаними з прийманням препарату ФАБРАЗІМ, є такі, що потребують спеціальних заходів щодо управління ризиками для подальшого дослідження або мінімізації ризику з метою безпечного застосування лікарського засобу.

Важливі ризики можна розглядати як ідентифіковані або потенційні. Ідентифіковані ризики — це проблеми, щодо яких існує достатньо доказів їхнього зв'язку із застосуванням препарату ФАБРАЗІМ. Потенційні ризики — це проблеми, щодо яких існує певна підозра причинно-наслідкового зв'язку із зазначеним лікарським засобом, але цей зв'язок не було підтверджено й він потребує подальшого оцінювання. Відсутня інформація — дані стосуються інформації про безпеку лікарського засобу та наразі вони відсутні й потребують збирання інформації (наприклад, щодо тривалого використання препарату).

**Таблиця 1 — Перелік важливих ризиків і відсутня інформація**

<b>Важливий ідентифікований ризик</b>	Реакції гіперчутливості
<b>Важливий потенційний ризик</b>	Помилки при застосуванні лікарського препарату при проведенні інфузії в домашніх умовах
<b>Відсутня інформація</b>	Застосування в період вагітності чи годування груддю

## VI.2.2. Резюме важливих ризиків

Таблиця 1 — Важливі ризики та відсутня інформація з відповідними заходами з мінімізації ризиків і додатковими заходами з фармаконагляду (за наявності). Важливий ідентифікований ризик: реакції гіперчутливості

<b>Реакції гіперчутливості</b>	
<b>Докази зв'язку ризику із застосуванням лікарського засобу</b>	Клінічні дослідження та післяреєстраційний досвід
<b>Чинники ризику й групи ризику.</b>	Пацієнти з антитілами IgG до r-haGAL мають більший потенціал для розвитку реакцій, пов'язаних з інфузією, і, можливо, реакцій гіперчутливості. До лікування таких пацієнтів слід ставитися з обережністю при повторному введенні препарату ФАБРАЗІМ. Слід регулярно проводити моніторинг рівня антитіл. І навпаки, не у всіх пацієнтів з симптомами гіперчутливості виявляються антитіла IgG проти r-haGAL.
<b>Заходи з мінімізації ризиків</b>	<b>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</b> Розділи 4.3; 4.4 та 4.8 КХЛЗ Розділи «Протипоказання», «Особливості застосування», «Побічні реакції» Інструкції для медичного застосування лікарського засобу Категорія відпуску <b>Додаткові заходи з мінімізації ризиків:</b> Керівництво для співробітників галузі охорони здоров'я: Навчальний матеріал для СГОЗ, що вводять препарат ФАБРАЗІМ. Керівництво для пацієнтів/осіб, що здійснюють догляд: Навчальний матеріал для пацієнтів/осіб, що здійснюють догляд, які отримують та/або застосовують ФАБРАЗІМ в домашніх умовах.
<b>Додаткові заходи з фармаконагляду:</b>	<b>Додаткові заходи з фармаконагляду</b> Нова оцінка для оцінки ефективності оновлених додаткових заходів з мінімізації ризиків.

IgG — імуноглобулін G; КХЛЗ — коротка характеристика лікарського засобу; ЛВ (інструкція для медичного застосування лікарського засобу) — листок-вкладка; r-haGAL — рекомбінантна людська альфа-галактозидаза.

Таблиця 3 — Важливий ризик і відсутня інформація з відповідними заходами щодо мінімізації ризику і додатковими заходами з фармаконагляду за їх наявності — Важливий потенційний ризик: помилки при застосуванні лікарського препарату в разі проведення інфузії в домашніх умовах

<b>Помилки при застосуванні лікарського препарату при проведенні інфузії в домашніх умовах</b>	
<b>Докази зв'язку ризику із застосуванням лікарського засобу</b>	Клінічні дослідження та дані післяреєстраційного періоду.
<b>Чинники ризику й групи ризику.</b>	Пацієнти, які проводять інфузію самостійно або за допомогою осіб, які не є СГОЗ, тобто осіб, які здійснюють догляд, або членів сім'ї.

<b>Помилки при застосуванні лікарського препарату при проведенні інфузії в домашніх умовах</b>	
<b>Заходи з мінімізації ризиків</b>	<p><b>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</b> Категорія відпуску</p> <p><b>Додаткові заходи з мінімізації ризиків:</b> Керівництво для співробітників галузі охорони здоров'я: Навчальний матеріал для СГОЗ, які призначають інфузії в домашніх умовах, і які призначають ФАБРАЗИМ. Керівництво для пацієнтів/осіб, що здійснюють догляд: Навчальний матеріал для пацієнтів/осіб, що здійснюють догляд, які отримують та/або застосовують ФАБРАЗИМ в домашніх умовах (як частину ключового елемента, що стосується інструкцій з відновлення та введення).</p>
<b>Додаткові заходи з фармаконагляду</b>	<p><b>Додаткові заходи з фармаконагляду:</b> Нова оцінка для оцінки ефективності оновлених додаткових заходів з мінімізації ризиків.</p>

СГОЗ — співробітник галузі охорони здоров'я.

Таблиця 4 — Важливі ризики та відсутня інформація з відповідними заходами з мінімізації ризиків і додатковими заходами з фармаконагляду (за наявності). Відсутня інформація: застосування в період вагітності чи годування груддю

<b>Застосування в період вагітності чи годування груддю</b>	
<b>Заходи з мінімізації ризиків</b>	<p><b>Рутинні заходи з мінімізації ризиків:</b> Розділ 4.6 КХЛЗ Розділ «Застосування у період вагітності або годування груддю» інструкції для медичного застосування лікарського засобу. Категорія відпуску</p> <p><b>Додаткові заходи з мінімізації ризиків:</b> Відсутнє</p>
<b>Додаткові заходи з фармаконагляду</b>	<p><b>Додаткові заходи з фармаконагляду</b> Дослідження MSC12868 (AGAL02603) (дослідження лактації). Дослідження AGAL19211 (FU2 057.4) (реєстр FABRY/підреєстр вагітності).</p>

ЛВ — листок-вкладка (інструкція для медичного застосування лікарського засобу); КХЛЗ — коротка характеристика лікарського засобу.

### VI.2.3. План післяреєстраційного розвитку

#### VI.2.3.1. Дослідження, що є умовою отримання реєстраційного посвідчення

Не існує досліджень, що є умовами отримання реєстраційного посвідчення або несуть у собі конкретні зобов'язання щодо застосування лікарського засобу ФАБРАЗИМ.

### VI.2.3.2. Інші дослідження в плані післяреєстраційного розвитку

Таблиця 5 — Інші дослідження в плані післяреєстраційного розвитку

<b>Оцінка ефективності навчальних матеріалів для інфузії препарату ФАБРАЗІМ в домашніх умовах (категорія 3)</b>
Мета і завдання, які необхідно визначити
<b>Дослідження лактації MSC12868 (AGAL02603) (Категорія 3)</b>
Цілями цього дослідження є визначити, чи є активність $\alpha$ -GAL в грудному молоці матерів з хворобою Фабрі, які отримують лікування препаратом ФАБРАЗІМ в період лактації, виміряти обсяг виділення і склад грудного молока (обсяг, вміст білка і жиру) у жінок з хворобою Фабрі, які отримують препарат ФАБРАЗІМ в період годування груддю, а також визначити, чи впливає ФАБРАЗІМ на ріст, розвиток та імунологічну відповідь немовлят, народжених від матерів з хворобою Фабрі, які отримують лікування препаратом ФАБРАЗІМ в період годування груддю.
<b>Реєстр FABRY/підреєстр вагітності, AGAL19211 (FU2 057.4) (Категорія 3)</b>
Обґрунтування наявності підреєстра вагітності реєстра Fabry полягає в оцінці безпеки застосування агалсидази бета під час вагітності. Основною метою створення даного субреєстра є відстеження результатів вагітності у жінок з хворобою Фабрі, які отримують агалсидазу бета під час вагітності, і у жінок з хворобою Фабрі, які не отримують агалсидазу бета під час вагітності. Крім того, даний субреєстр призначений для спостереження за немовлятами, народженими у жінок з хворобою Фабрі, протягом 3 років після пологів.

$\alpha$ -GAL: Альфа-галактозидаза.

## **СПИСОК ВИКОРИСТАНИХ ДЖЕРЕЛ**

Відсутнє