

Non-Clinical Trial Reports

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available):	FABRAZYME®
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
2) Trials conducted	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
Confidential information	
2. Pharmacology:	Confidential information
1) primary pharmacodynamics	Confidential information
2) secondary pharmacodynamics	Secondary pharmacodynamic studies have not been conducted.
3) safety pharmacology	Confidential information
4) pharmacodynamic interactions	No pharmacodynamic drug interactions studies were performed.
3. Pharmacokinetics:	
1) analytical procedures and reports on their validation	Confidential information
2) absorption	Confidential information
3) distribution	Confidential information
4) metabolism	No metabolism studies have been performed.
5) excretion	No excretion studies have been performed.
6) pharmacokinetic interactions (non-clinical)	No drug interaction studies have been performed.
7) other pharmacokinetic studies	No other studies have been performed.
4. Toxicology:	
1) Single dose toxicity	Confidential information
2) Repeated dose toxicity	<i>27-week Intravenous Toxicity Study with r-hαGAL in Sprague-Dawley</i>
3) Genotoxicity:	Studies to assess the mutagenic potential of r-hαGAL have not been conducted.
in vitro	
in vivo (including additional assessment on toxicokinetics)	-
4) Carcinogenicity:	No carcinogenicity studies have been conducted.
long-term studies	-
short-term studies or mid-term studies	-
additional studies	-

5) Reproductive and developmental toxicity:	
effects on fertility and early embryonic development	Confidential information
embryotoxicity	Confidential information
prenatal and postnatal toxicity	No prenatal/postnatal development studies have been performed.
studies in which medication is administered to the offspring (immature animals) and/or long-term effects are assessed	No studies in immature animals have been performed.
6) local tolerance	Nonclinical local tolerance studies for r-hαGAL have not been performed.
7) additional toxicity studies:	
antigenicity (antibody response)	Confidential information
immunotoxicity	-
study of the mechanisms of action	Fabrazyme is intended to provide an exogenous source of α-galactosidase A in Fabry disease patients. Special studies of the mechanisms of action have not been performed.
drug dependence	Not applicable.
toxicity of metabolites	Not applicable.
toxicity of impurities	No data available.
other	-
5. Conclusions on non-clinical study	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)



 (signature) _____

(full name) _____

ДІЯЧЕНКО О. П. ГОЛОВНИК ПІДРОЗДІЛУ З
 МЕДИЦИНСЬКИХ ТА ФАРМАЦЕВТИЧНИХ ПИТАНЬ
 ДІЯЧЕНКО О. П. ГОЛОВНИК ПІДРОЗДІЛУ З
 МЕДИЦИНСЬКИХ ТА ФАРМАЦЕВТИЧНИХ ПИТАНЬ

ЗВІТ

про доклінічні дослідження

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення):	ФАБРАЗИМ®
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
2) проведені дослідження	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
2. Фармакологія:	Конфіденційна інформація
1) первинна фармакодинаміка	Конфіденційна інформація
2) вторинна фармакодинаміка	Дослідження вторинної фармакодинаміки не проводились.
3) фармакологія безпеки	Конфіденційна інформація
4) фармакодинамічні взаємодії	Дослідження фармакодинамічної взаємодії лікарських засобів не проводилися.
3. Фармакокінетика:	
1) аналітичні методики та звіти щодо їх валідації	Конфіденційна інформація
2) всмоктування	Конфіденційна інформація
3) розподіл	Конфіденційна інформація
4) метаболізм	Дослідження метаболізму не проводилися.
5) виведення	Дослідження виведення не проводилися.
6) фармакокінетичні взаємодії (доклінічні)	Доклінічні дослідження фармакокінетичних взаємодій не проводилися.
7) інші фармакокінетичні дослідження	Інші дослідження не проводилися.
4. Токсикологія:	
1) токсичність у разі одноразового введення	Конфіденційна інформація
2) токсичність у разі повторних введень	<i>27-тижневе дослідження токсичності у разі внутрішньовенного введення r-haGAL щурам Спрег-Доулі</i>
3) генотоксичність:	
in vitro	Дослідження з визначення мутагенного потенціалу r-haGAL не проводилися.
in vivo (включаючи додаткову оцінку з токсикокінетики)	-
4) канцерогенність:	
довгострокові дослідження	Дослідження канцерогенності не проводилися. -

короткострокові дослідження або дослідження середньої тривалості	-
додаткові дослідження	-
5) репродуктивна токсичність та токсичний вплив на розвиток потомства:	
вплив на фертильність і ранній ембріональний розвиток	Конфіденційна інформація
ембріотоксичність	Конфіденційна інформація
пренатальна і постнатальна токсичність	Дослідження токсичного впливу на пренатальний/постнатальний розвиток не проводилися.
дослідження, при яких препарат уводиться потомству (нестатевозрілим тваринам) та/або оцінюється віддалена дія	Дослідження на нестатевозрілих тваринах не проводилися.
6) місцева переносимість	Доклінічні дослідження місцевої переносимості r-haGAL не проводилися.
7) додаткові дослідження токсичності:	
антигенність (утворення антитіл)	Конфіденційна інформація
імунотоксичність	-
дослідження механізмів дії	Фабразим призначений для забезпечення екзогенного джерела α -галактозидази А пацієнтам з хворобою Фабрі. Спеціальні дослідження механізмів дії не проводилися.
лікарська залежність	Не застосовне.
токсичність метаболітів	Не застосовне.
токсичність домішок	Дані відсутні.
інше	-
5. Висновки щодо доклінічного вивчення	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)



(П.І.Б.)

Звіт про клінічне випробування № 1

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Багатоцентрове, відкрите, розширене дослідження безпеки та ефективності замісної терапії рекомбінантною α -галактозидазою А людини (r-h α Gal) у пацієнтів із хворобою Фабрі. Дослідження №: AGAL-005-99.
6. Фаза клінічного випробування	3
7. Період проведення клінічного випробування	Дата включення першого пацієнта: 26 жовтня 1999 року. Дата завершення дослідження останнім пацієнтом: 01 грудня 2004 року.
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	8 первинних центрів у 4 країнах: Франція, Нідерланди, Велика Британія, США.
9. Кількість досліджуваних	Запланована: 58 пацієнтів. Фактична: 58 пацієнтів.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Метою дослідження було продемонструвати довгострокову безпеку та ефективність препарату Фабразим при застосуванні в якості ферментної замісної терапії пацієнтам із хворобою Фабрі.
11. Дизайн клінічного випробування	Конфіденційна інформація
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Це було відкрите дослідження, тому препарат порівняння не застосовувався.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Результати щодо ефективності та безпеки були підсумовані за допомогою описової статистики.
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація

20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація
21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заклучення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)



КЕРІВНИК (підпис) РОЗДІЛУ З
РЕГУЛЯТОРНИХ ПИТАНЬ
НІКОЛАЄВА С. Л.
(П.І.Б.)

Звіт про клінічне випробування № 2

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Багатоцентрове, відкрите дослідження безпеки та ефективності замісної терапії рекомбінантною α -галактозидазою А людини (r-haGAL) у пацієнтів із хворобою Фабрі. Дослідження №: AGAL-007-99.
6. Фаза клінічного випробування	2
7. Період проведення клінічного випробування	З: 05 серпня 2000 р. По: 07 травня 2001 р.
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	5 центрів дослідження в Японії.
9. Кількість досліджуваних	Запланована: 13 пацієнтів. Фактична: 13 пацієнтів.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Метою даного дослідження було оцінити безпеку та ефективність r-haGAL у пацієнтів-японців із діагнозом хвороба Фабрі..
11. Дизайн клінічного випробування	Конфіденційна інформація
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	У цьому дослідженні препарат порівняння не використовувався
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Результати щодо ефективності та безпеки були підсумовані за допомогою описової статистики.
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація

20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація
21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заклучення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)


(підпис)
КЕРІВНИК
РЕГУЛЯТОРНИЙ ЦЕНТР
НІКОЛАЄВА (П.І.Б.)



Звіт про клінічне випробування № 3

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Багатоцентрове відкрите дослідження підтримувальної замісної терапії препаратом Фабразим (рекомбінантна α -галактозидаза А людини (r-haGAL)) у низькій дозі у пацієнтів із хворобою Фабрі. Дослідження №: AGAL-017-01.
6. Фаза клінічного випробування	2
7. Період проведення клінічного випробування	3 29 червня 2003 р. (дата включення першого пацієнта). По 20 квітня 2006 р. (дата завершення дослідження останнім пацієнтом).
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	4 центри дослідження в Європі.
9. Кількість досліджуваних	Запланована: приблизно 20 пацієнтів чоловічої статі. Фактична: 21 пацієнт чоловічої статі
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Конфіденційна інформація
11. Дизайн клінічного випробування	Це було багатоцентрове відкрите дослідження за участю пацієнтів із хворобою Фабрі, які раніше не отримували лікування препаратом Фабразим.
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Не застосовно.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Результати ефективності та безпеки були підсумовані за допомогою описової статистики.
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація

20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація
21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заклучення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)


КЕРІВНИК (підпис)
РЕГУЛЯТОР
НІКОЛАЄВА
(П.І.Б.)



Звіт про клінічне випробування № 4

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодований номер клінічного випробування	Багатоцентрове, фази 2, відкрите дослідження замісної терапії препаратом Фабразим (рекомбінантна α -галактозидаза А людини) у пацієнтів дитячого віку з хворобою Фабрі. Дослідження №: AGAL-016-01.
6. Фаза клінічного випробування	2
7. Період проведення клінічного випробування	З 30 жовтня 2002 р. (дата включення першого пацієнта). По 09 травня 2005 р. (дата завершення дослідження останнім пацієнтом).
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	10 центрів дослідження в Європі та 1 у США
9. Кількість досліджуваних	Запланована: максимально 20 пацієнтів. Фактична: 16 пацієнтів.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Основною метою була оцінка безпеки, ефективності та фармакокінетики застосування препарату Фабразим у дозі 1,0 мг/кг 2 рази на тиждень у пацієнтів дитячого віку (від ≥ 7 до ≤ 15 років) із хворобою Фабрі.
11. Дизайн клінічного випробування	Конфіденційна інформація
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Не застосовно
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Результати щодо ефективності та безпеки були підсумовані за допомогою описової статистики.

19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація
20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація
21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заключення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)

КЕРІВНИК
РЕГУЛЯТОРНИЙ
НІКОЛАЄВА С



(підпис)

(П.І.Б.)

Звіт про клінічне випробування № 5

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Багатоцентрове, відкрите дослідження безпеки та ефективності препарату Фабразим у пацієнтів з хворобою Фабрі, які попередньо брали участь у дослідженні AGAL-008-00. Дослідження №: AGAL02503.
6. Фаза клінічного випробування	4
7. Період проведення клінічного випробування	Дата включення першого пацієнта: 15 січня 2004 року. Дата завершення участі у дослідженні останнім пацієнтом: 12 вересня 2005 року.
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	25 центрів дослідження у 2 країнах Північної Америки та 4 країнах Європейського Союзу
9. Кількість досліджуваних	Запланована: приблизно 70 пацієнтів. Фактична: 67 пацієнтів.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Конфіденційна інформація
11. Дизайн клінічного випробування	Конфіденційна інформація
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Не застосовно для цього відкритого дослідження-подовження. Усі пацієнти отримували лікування препаратом Фабразим.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Результати щодо ефективності та безпеки були підсумовані за допомогою описової статистики.

19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація
20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація
21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заключення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)


КЕРІВНИК (підпис)
РЕГУЛЯТОРНИЙ
НІКОЛАЄВА С.
(П.І.Б.)



Звіт про клінічне випробування № 6

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Багатоцентрове відкрите дослідження безпеки та ефективності замісної терапії α -галактозидазою А (r-h α GAL) у пацієнтів із серцевою формою хвороби Фабрі. Дослідження №: AGAL03204.
6. Фаза клінічного випробування	IV
7. Період проведення клінічного випробування	Дата підписання першої інформованої згоди: 6 липня 2005 року Дата виписки останнього пацієнта: 6 серпня 2012 року
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	9 дослідницьких центрів у Японії
9. Кількість досліджуваних	Запланована: 6 пацієнтів. Фактична: 6 пацієнтів.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Конфіденційна інформація
11. Дизайн клінічного випробування	Багатоцентрове відкрите дослідження.
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	У цьому дослідженні препарат порівняння не використовувався.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Результати щодо ефективності та безпеки були підсумовані за допомогою описової статистики.
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація
20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація

21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заключення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)

С.Розавенціс
КЕРІВНИК П. РОЗАВЕНЦІС
РЕГУЛЯТОРНИЙ ПИТАННЯ
НІКОЛАЄВА С. (підпис)
ІДЕНТИФІКАЦІЙНИЙ КОД 35848823
(П.І.Б.)



Звіт про клінічне випробування № 7

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Відкрите дослідження безпеки та ефективності продовження замісної терапії рекомбінантною α -галактозидазою А людини (r-haGAL) пацієнтів з хворобою Фабрі, які брали участь у дослідженні за протоколом № FB9702-01. Протокол № AGAL-006-99.
6. Фаза клінічного випробування	Відкрите продовження дослідження 1/2 фази
7. Період проведення клінічного випробування	3 23 травня 2000 року по 29 липня 2003 року
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	Сполучені Штати Америки і Великобританія
9. Кількість досліджуваних	Запланована: 15 пацієнтів. Фактична: 14 пацієнтів.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Метою даного дослідження було отримання додаткової інформації щодо безпеки та ефективності лікарського засобу Фабразим® при застосуванні в якості замісної терапії пацієнтам з хворобою Фабрі після перерви в лікуванні.
11. Дизайн клінічного випробування	Конфіденційна інформація
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Препарат порівняння не застосовувався в цьому дослідженні.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Результати щодо ефективності та безпеки були підсумовані за допомогою описової статистики.
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація
20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація

21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заклучення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)



Звіт про клінічне випробування № 8

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Рандомізоване багатоцентрове багатонаціональне відкрите дослідження лікарського засобу Фабразим (агалсидази бета), 3В фази з паралельними групами за участю раніше нелікованих пацієнтів педіатричного профілю чоловічої статі з хворобою Фабрі без тяжких симптомів. Протокол № AGAL06207/EFC12821 (FIELD [Fabrazyme: Intervening Early at a Lower Dose]).
6. Фаза клінічного випробування	Фаза 3
7. Період проведення клінічного випробування	З 17 червня 2008 року по 22 червня 2015 року
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	Великобританія, Нідерланди, Польща, Норвегія, Чеська Республіка, Аргентина, Бразилія, Канада і Сполучені Штати Америки (США)
9. Кількість досліджуваних	Запланована: 35 пацієнтів. Фактична: 31 пацієнт.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Конфіденційна інформація
11. Дизайн клінічного випробування	Конфіденційна інформація
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Не застосовне.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Конфіденційна інформація
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація

20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація
21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заключення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)



Звіт про клінічне випробування № 9

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Оцінка кліренсу глікофінголіпідів у пацієнтів, які отримували лікування агалсидазою альфа та перейшли на лікування агалсидазою бета. Протокол № AGAL19412 (дослідження INFORM).
6. Фаза клінічного випробування	Фаза 4
7. Період проведення клінічного випробування	З 30 квітня 2012 року по 15 березня 2013 року
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	Сполучені Штати Америки
9. Кількість досліджуваних	Запланована: до 30 пацієнтів. Фактична: 15 пацієнтів.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Конфіденційна інформація
11. Дизайн клінічного випробування	Конфіденційна інформація
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Не застосовне.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Конфіденційна інформація
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація
20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація
21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заклучення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)

Сидор
КЕРІВНИК ПІДЗАВІДУ
РЕГУЛЯТОРИХ
НІКОЛАЄВА С. П.
(П.І.Б.)



Звіт про клінічне випробування № 10

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Оцінка фармакокінетики та фармакодинаміки рекомбінантної α -галактозидази людини (r-haGAL) при застосуванні в якості замісної терапії пацієнтам з хворобою Фабрі: відкрите дослідження з підбором дози при багаторазовому застосуванні. Протокол № FB9702-01.
6. Фаза клінічного випробування	Фаза 1/2
7. Період проведення клінічного випробування	З 21 квітня 1998 року по 16 жовтня 1998 року
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	Сполучені Штати Америки
9. Кількість досліджуваних	Запланована: 15 пацієнтів. Фактична: 15 пацієнтів.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Конфіденційна інформація
11. Дизайн клінічного випробування	Це було одноцентрове, нерандомізоване, відкрите дослідження багаторазового введення.
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Не застосовне.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Конфіденційна інформація
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація
20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація
21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заклучення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)



(підпис)

КЕРІВНИК ПІДРОБИТІ 3
РЕГУЛЯТОРНИХ ПИТАНЬ
НІКОЛАЄВА С. П.

Звіт про клінічне випробування № 11

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерланди
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Дослідження із цілеспрямованого збору даних пацієнтів з Реєстру хвороби Фабрі, які отримували лікування лікарським засобом Фабразим, виготовленим за допомогою інтегрованої безперервної біотехнології (Фабразим-ІСВ).
6. Фаза клінічного випробування	Не застосовне.
7. Період проведення клінічного випробування	3 18 березня 2021 року по 3 грудня 2021 року
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	23 центри Реєстру пацієнтів з хворобою Фабрі у США
9. Кількість досліджуваних	Запланована: станом на дату завантаження даних, 3 грудня 2021 року, у 23 центрах Реєстру перебувало на обліку 1195 пацієнтів. Фактична: 152 пацієнти розпочали або перейшли на застосування Фабразим-ІСВ.
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Конфіденційна інформація
11. Дизайн клінічного випробування	Конфіденційна інформація
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Не застосовне.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Конфіденційна інформація
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація
20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація
21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація

22. Висновок (заключення)

Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)

КЕРІВНИК
РЕГУЛЯТОРНИХ СЛУЖБ
НІКОЛАЙ

(вдпис)

(П.І.Б.)



Звіт про клінічне випробування

1. Назва лікарського засобу (за наявності - номер реєстраційного посвідчення)	ФАБРАЗИМ®
2. Заявник	Санофі Б. В., Нідерландиз
3. Виробник	Джензайм Ірланд Лімітед, Ірландія
4. Проведені дослідження:	<input checked="" type="checkbox"/> так <input type="checkbox"/> ні якщо ні, обґрунтувати
1) тип лікарського засобу, за яким проводилася або планується реєстрація	Лікарський засіб за повним досьє (автономне досьє), інший лікарський засіб, відома діюча речовина
5. Повна назва клінічного випробування, кодовий номер клінічного випробування	Багатоцентрове плацебо-контрольоване подвійно-сліпе рандомізоване дослідження безпеки та ефективності замісної терапії рекомбінантною α -галактозидазою людини (r-haGAL) пацієнтів з хворобою Фабрі. Протокол № AGAL-1-002-98.
6. Фаза клінічного випробування	Фаза 3
7. Період проведення клінічного випробування	З 14 березня 1999 року по 4 лютого 2000 року
8. Країни, де проводилося клінічне випробування	Франція, Нідерланди, Великобританія, Сполучені Штати Америки
9. Кількість досліджуваних	Запланована: приблизно 60 пацієнтів. Фактична: 58 пацієнтів (29 пацієнтів у групі r-haGAL і 29 – у групі плацебо)
10. Мета та вторинні цілі клінічного випробування	Основна мета даного дослідження полягала в оцінці безпеки та ефективності застосування r-haGAL порівняно з плацебо у лікуванні пацієнтів з хворобою Фабрі.
11. Дизайн клінічного випробування	Конфіденційна інформація
12. Основні критерії включення	Конфіденційна інформація
13. Досліджуваний лікарський засіб, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація
14. Препарат порівняння, доза, спосіб застосування, сила дії	Конфіденційна інформація.
15. Супутня терапія	Конфіденційна інформація
16. Критерії оцінки ефективності	Конфіденційна інформація
17. Критерії оцінки безпеки	Конфіденційна інформація
18. Статистичні методи	Результати щодо ефективності та безпеки були підсумовані за допомогою описової статистики.
19. Демографічні показники досліджуваної популяції (стать, вік, раса, тощо)	Конфіденційна інформація
20. Результати ефективності	Конфіденційна інформація

21. Результати безпеки	Конфіденційна інформація
22. Висновок (заключення)	Конфіденційна інформація

Заявник (власник реєстраційного посвідчення)



Clinical Trial Report No.1

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	Multicenter, Open-Label Extension Study Of The Safety And Efficacy Of Recombinant Human α -Galactosidase A (r-h α Gal) Replacement In Patients With Fabry Disease. Study Number: AGAL-005-99.
6. Clinical trial phase	Phase 3
7. Period of the clinical trial	Date of First Patient Enrolled: 26 October 1999. Date of Last Patient Completed: 01 December 2004.
8. Countries where the clinical trial was conducted	8 primary sites in 4 countries: France, Netherlands, United Kingdom, United States
9. Number of study participants	Planned: 58 patients. Actual: 58 patients.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	The objectives of the study were to demonstrate the long-term safety and efficacy of Fabrazyme when used as enzyme replacement therapy in patients with Fabry disease.
11. Design of the clinical trial	Confidential information
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	This was an open-label study; therefore, no reference therapy was used.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Efficacy and safety results are summarized using descriptive statistics.

19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information
20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)

(signature)

(full name)



Clinical Trial Report No.2

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	A Multicenter, Open-Label Study of the Safety and Efficacy of Recombinant Human α -Galactosidase A (r-h α GAL) Replacement in Patients with Fabry Disease. Study Number: AGAL-007-99.
6. Clinical trial phase	2
7. Period of the clinical trial	From: 5 August 2000 To: 7 May 2001
8. Countries where the clinical trial was conducted	Five study centers in Japan.
9. Number of study participants	Planned: 13 patients. Actual: 13 patients.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	The objective of this study was to evaluate the safety and efficacy of r-h α GAL in Japanese patients diagnosed with Fabry disease.
11. Design of the clinical trial	Confidential information
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	No reference treatment was used in this study.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Efficacy and safety results are summarized using descriptive statistics.
19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information

20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)


 (signature)

 (full name) КЕРІВНИК

 ПІДПИСАНИЙ
 НІКОЛАЄВА С. Л.



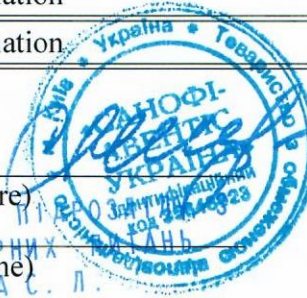
Clinical Trial Report No.3

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	Multi-centre, Open-Label Study of Low Dose Maintenance Treatment of Fabrazyme (Recombinant Human α -Galactosidase A (r-h α GAL)) Replacement Therapy in Patients With Fabry Disease. Study Number: AGAL-017-01.
6. Clinical trial phase	Phase 2
7. Period of the clinical trial	From 29 June 2003 (date first patient was enrolled). To 20 April 2006 (date last patient exited the study).
8. Countries where the clinical trial was conducted	4 study centres in Europe.
9. Number of study participants	Planned: approximately 20 male patients. Actual: 21 male patients
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	Confidential information
11. Design of the clinical trial	This was a multi-centre, open-label study of patients with Fabry disease who had no prior treatment with Fabrazyme.
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	Not applicable.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Efficacy and safety results are summarized using descriptive statistics.

19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information
20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)

_____ (signature)
 _____ (full name)
 КЕРІВНИК П. П. РЕГУЛЯТОРНИХ
 НІКОЛАЄВА С. Л.



Clinical Trial Report No.4

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	Multicenter, Phase 2, Open-Label Study of Fabrazyme (Recombinant Human α -Galactosidase A) Replacement Therapy in Paediatric Patients with Fabry Disease. Study Number: AGAL-016-01.
6. Clinical trial phase	Phase 2
7. Period of the clinical trial	From 30 October 2002 (date first patient was enrolled). To 09 May 2005 (date last patient exited the study).
8. Countries where the clinical trial was conducted	10 study centres in Europe and 1 in U.S.
9. Number of study participants	Planned: a maximum of 20 patients. Actual: 16 patients.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	The primary objective was to evaluate safety, efficacy and pharmacokinetics of 1.0 mg/kg Fabrazyme biweekly in paediatric patients (age ≥ 7 and ≤ 15 years) with Fabry disease.
11. Design of the clinical trial	Confidential information
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	Not applicable.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Efficacy and safety results are summarized using descriptive statistics.

19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information
20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)

(signature)

(full name)



Clinical Trial Report No.5

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	Multi-center, Open Label Study of the Safety and Efficacy of Fabrazyme in Patients with Fabry Disease that previously participated in the AGAL-008-00 Study. Study Number: AGAL02503.
6. Clinical trial phase	Phase 4
7. Period of the clinical trial	Date first patient was enrolled: 15-Jan-04. Date last patient exited the study: 12-Sep-05.
8. Countries where the clinical trial was conducted	25 study centers in 2 countries in North America and 4 countries in the European Union
9. Number of study participants	Planned: approximately 70 patients. Actual: 67 patients.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	Confidential information
11. Design of the clinical trial	Confidential information
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	Not applicable for this open-label extension study, in which all patients received Fabrazyme treatment.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Efficacy and safety results are summarized using descriptive statistics.
19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information

20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)

(signature)

(full name) КЕРІВНИК
РЕГІСТРАТОРНИ
НІКОЛАЄВА С. П.



Clinical Trial Report No.6

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	A multicenter open-label study of the safety and efficacy of α -galactosidase A (r-h α GAL) replacement therapy in patients with cardiac Fabry disease. Study Number: AGAL03204.
6. Clinical trial phase	IV
7. Period of the clinical trial	Date First Patient Consented: 6 July 2005 Date of Last Patient Out: 6 August 2012
8. Countries where the clinical trial was conducted	9 study sites in Japan
9. Number of study participants	Planned: 6 patients. Actual: 6 patients.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	Confidential information
11. Design of the clinical trial	A multicenter open-label study.
12. Main inclusion criteria	Confidential information.
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	No reference treatment was used in this study.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Efficacy and safety results were summarized using descriptive statistics.
19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information

20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)



 _____ (signature)

 _____ (full name)

Clinical Trial Report No. 7

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	An Open-Label Extension Study of the Safety and Efficacy of Recombinant Human α -Galactosidase A (r-h α GAL) Replacement Therapy in Patients With Fabry Disease Who Participated in Protocol No. FB9702-01. Protocol No.: AGAL-006-99
6. Clinical trial phase	Open-label extension of the Phase 1/2 Study.
7. Period of the clinical trial	From 23 May 2000 to 29 July 2003.
8. Countries where the clinical trial was conducted	United States (US) and the United Kingdom (UK).
9. Number of study participants	Planned: 15 patients. Actual: 14 patients.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	The objective of this study was to obtain additional information regarding the safety and efficacy of Fabrazyme® when used as replacement therapy in patients with Fabry disease, after an interruption in therapy.
11. Design of the clinical trial	Confidential information
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	No reference treatment was used in this study.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Efficacy and safety results are summarized using descriptive statistics.

19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information
20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)

(signature)

(full name)




КЕРІВНИК
РЕСУРСІВ
НІКОЛАЄВА С.


Clinical Trial Report No. 8

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	A Randomized, Multicenter, Multinational, Phase 3B, Open-Label, Parallel-Group Study of Fabrazyme (agalsidase beta) in Treatment-Naive Male Pediatric Patients with Fabry Disease Without Severe Symptoms. Protocol No.: AGAL06207/EFC12821 (FIELD [Fabrazyme: Intervening Early at a Lower Dose]).
6. Clinical trial phase	Phase 3
7. Period of the clinical trial	From 17 June 2008 to 22 June 2015.
8. Countries where the clinical trial was conducted	The United Kingdom (UK), the Netherlands, Poland, Norway, the Czech Republic, Argentina, Brazil, Canada and the United States of America (USA).
9. Number of study participants	Planned: 35 patients. Actual: 31 patients.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	Confidential information
11. Design of the clinical trial	Confidential information
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	Not applicable.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Confidential information

19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information
20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)


 (signature)


 (full name)



Clinical Trial Report No. 9

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	Evaluation of Glycosphingolipid Clearance in Patients Treated With Agalsidase Alfa who Switch to Agalsidase Beta. Protocol No.: AGAL19412 (The INFORM Study)
6. Clinical trial phase	Exploratory Phase 4
7. Period of the clinical trial	From 30 April 2012 to 15 March 2013.
8. Countries where the clinical trial was conducted	United States
9. Number of study participants	Planned: Up to 30 patients. Actual: 15 patients.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	Confidential information
11. Design of the clinical trial	Confidential information
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	Not applicable.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Confidential information
19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information
20. Efficacy results	Confidential information

21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)

(signature)

(full name)

КЕРІВНИК
РЕГУЛЯТОРНИХ
НІКОЛАЄВА С. Л.



Clinical Trial Report No. 10

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	Pharmacokinetic and Pharmacodynamic Evaluation of Recombinant Human α -Galactosidase (r-h α GAL) Replacement in Patients with Fabry Disease: An Open-Label, Multi-Dose, Dose-Finding Study. Protocol No.: FB9702-01
6. Clinical trial phase	Phase 1/2
7. Period of the clinical trial	From 21 April 1998 to 16 October 1998
8. Countries where the clinical trial was conducted	USA
9. Number of study participants	Planned: 15 patients. Actual: 15 patients.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	Confidential information
11. Design of the clinical trial	This was a single-center, multi-dose, non-randomized, open-label study.
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	Not applicable.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Confidential information
19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information

20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)

(signature)

(full name)



Clinical Trial Report No. 11

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	Focused Data Collection Study in Fabry Registry Patients Treated with Fabrazyme Manufactured Using Integrated Continuous Biomanufacturing (Fabrazyme-ICB).
6. Clinical trial phase	Not applicable.
7. Period of the clinical trial	From 12 March 2021 to 03 December 2021
8. Countries where the clinical trial was conducted	23 Fabry Registry sites in the US
9. Number of study participants	Planned: There were 1195 patients at the 23 FDC sites as of the data download date, 03 December 2021. Actual: 152 initiated or transitioned to Fz-ICB.
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	Confidential information
11. Design of the clinical trial	Confidential information
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	Not applicable.
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Confidential information
19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information

20. Efficacy results	Confidential information
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)

_____ (signature)

 (full name)
 НІКОЛА



Clinical Trial Report

1. Name of the medicinal product (number of registration certificate, if available)	FABRAZYME®
2. Applicant	Sanofi B. V., The Netherlands
3. Manufacturer	Genzyme Ireland Limited, Ireland
4. Trials conducted:	<input checked="" type="checkbox"/> yes <input type="checkbox"/> no If not, substantiate
1) type of the medicinal product, by which registration was conducted or planned	Medicinal product with complete dossier (stand-alone dossier), other medicinal product, known active substance.
5. Full name of the Clinical Trial, clinical trial code	A Multicenter, Placebo-Controlled, Double-Blind, Randomized Study Of The Safety And Efficacy Of Recombinant Human α -Galactosidase (r-h α GAL) Replacement In Patients With Fabry Disease. Study Number: AGAL-1-002-98.
6. Clinical trial phase	Phase 3
7. Period of the clinical trial	From March 14, 1999 to February 4, 2000.
8. Countries where the clinical trial was conducted	France, Netherlands, United Kingdom, United States
9. Number of study participants	Planned: approximately 60 patients. Actual: 58 patients (29 patients to r-h α GAL and 29 to placebo).
10. Goal and secondary objectives of the clinical trial	The primary objective of the study was to evaluate the safety and efficacy of r-h α GAL compared to placebo for the treatment of patients with Fabry disease.
11. Design of the clinical trial	Confidential information
12. Main inclusion criteria	Confidential information
13. The investigational medicinal product, method of administration, strength	Confidential information
14. Comparator, dose, method of administration, strength	Confidential information
15. Concomitant therapy	Confidential information
16. Efficacy evaluation criteria	Confidential information
17. Safety evaluation criteria	Confidential information
18. Statistical methods	Efficacy and safety results are summarized using descriptive statistics

19. Demographic characteristic of study population (gender, age, race, etc.)	Confidential information
20. Efficacy results	Confidential information.
21. Safety results	Confidential information
22. Conclusion	Confidential information

Applicant (Marketing Authorization Holder)


 _____ (signature)
 _____ (full name)

