

A systematic literature review to evaluate the cardiac and cerebrovascular outcomes of patients with Fabry disease treated with agalsidase Beta

아갈시다제 베타 치료를 받은 파브리병 환자의 심장 및 뇌혈관 지표를 평가한 체계적 문헌 고찰 연구

Oudit GY, *et al. Front Cardiovasc Med.* 2025 Jan 21;11:1415547.

다운로드 | 이메일로 전송

Key messages

- **파브라자임®(Agalsidase beta)은 심장질환이 있는 파브리병 환자의 심장 구조 및 질량의 안정화에 도움**이 될 수 있으며, **진행성 심장 섬유화가 시작되기 전에 치료를 시작할 경우 가장 효과적인 개선**을 보일 수 있는 치료제입니다.
- 이를 통해, **파브라자임®(Agalsidase beta)은 파브리병 환자의 심장과 뇌혈관 사건 발생률을 줄이는 데 임상적 이점**을 보일 수 있습니다.

Introduction

- **파브리병은 alfa-galactosidase A(α-gal A) 효소를 생성하는 GLA 유전자 변이**로 인해 발생하는 희귀질환입니다.
- **GLA 유전자 변이**로 인해 globotriaosylceramide(GL3)가 세포에 축적되기 시작하며, **장기의 영구적인 손상 위험과 임상 사건의 발생 위험이 높아집니다.**
- 이번 연구는 **Agalsidase beta(파브라자임®)가 파브리병 환자의 심혈관 및 뇌혈관 지표에 미치는 임상적 효과와 유효성**을 체계적으로 문헌 고찰했습니다.

Methods

- **연구설계:** Systematic literature review study(2000년 1월-2022년 6월)

- **데이터베이스:** MEDLINE, Embase, Cochrane Central Register of Controlled Trials(2019년 3월, 2022년 6월에 체계적 문헌 고찰 시행)

- **대상 연구:** 임상연구 및 관찰연구(52개 문헌; 41개 연구)
- **대상자:** 파브리병 환자
- **중재 약물:** Agalsidase beta(파브라자임®)
- **비교 대상:** 위약, 아갈시다제 알파, 자연 경과
- **평가변수:**

심장	**심장 구조 및 질량:** IVST, LVPWT, LVH, LVM/LVMI
	임상 사건: 부정맥(증상 동반), 협심증, 심근경색, 심혈관 장비(삽입형 심박동조절기, 제세동기)
	임상 사건의 공동 평가변수
신경/뇌혈관	**임상 사건:** 뇌졸중, 일과성 허혈 발작, 백질 병변
신장	**신장 기능 지표**
	임상 사건

질병 중증도 | 위장관 증상 | 모든 원인으로 인한 사망 | 삶의 질 | 통증 | 면역원성

Results

1) 심혈관 지표 개선

- 6개 문헌에서 **파브라자임® 투여 후 심실중격 두께(IVST) 및 좌심실 후벽 두께(LVPWT)가 유의하게 감소**했습니다.
- **IVST**는 baseline 시점 12.1-14.9 mm에서 follow-up 시점 **10.8-14.1 mm로 유의하게 감소**했습니다(all p <0.05).
- **LVPWT**는 baseline 시점 11.7-16.0 mm에서 follow-up 시점 **10.7-13.0 mm로 유의하게 감소**했습니다(all p <0.05).

※Follow-up 1–6 years / n=4 using echocardiography, n=2 cardiac MRI.

- 1개 문헌에서 **파브라자임® 투여 1년 후 심장 질량이 유의하게 감소**했습니다.
- **좌심실 질량(LVM)**은 baseline 시점 193 g에서 follow-up 시점 **178 g으로 유의하게 감소**했습니다(p <0.05).
- **좌심실 질량 지수(LVMI)**는 baseline 시점 102 g/m^{2}에서 follow-up 시점 **94 g/m^{2}로 유의하게 감소**했습니다(p <0.05).

※ Follow-up 13 months / using cardiac MRI.

- 4개 문헌에서 **파브라자임® 후 심장 사건의 종합 발생률은** 위약 대비 **낮았습니다.**
- 종합 심장 사건 발생률은 **3.8%-24.0%로** 위약 대비 **수치적으로 낮았습니다.**
  (3상 연구에서 전형적 파브리병 환자의 **96.2% (50/52명)는 파브라자임® 투여 후 10년 동안 어떠한 심장 사건도 경험하지 않았습니다.)**

※ Follow-up 2-10 years.

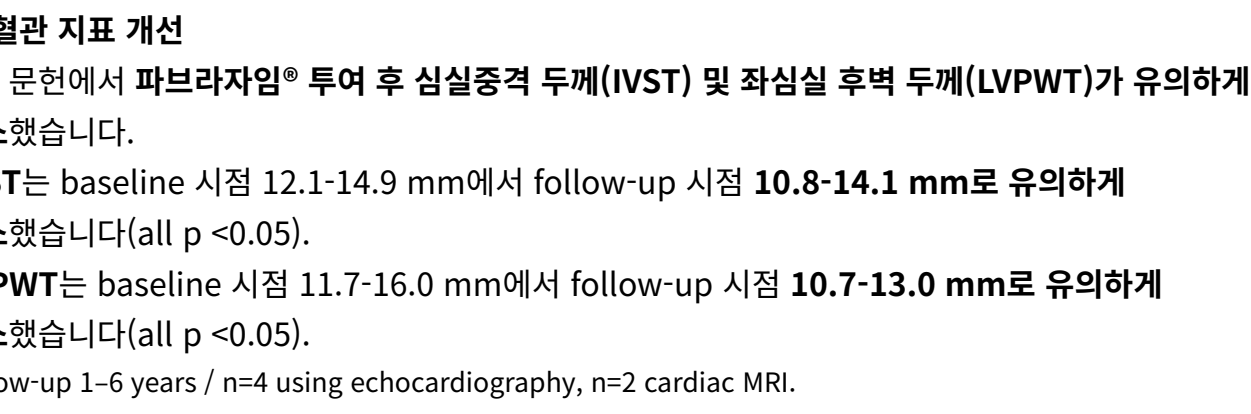
2) 뇌혈관 지표 개선

- 12개 문헌에서 **파브라자임® 후 뇌혈관 사건의 종합 발생률은** 위약 대비 **낮았습니다.**
- 종합 뇌혈관 사건 발생률은 **0.0%-18.9%로** 위약 대비 **수치적으로 낮았습니다.**

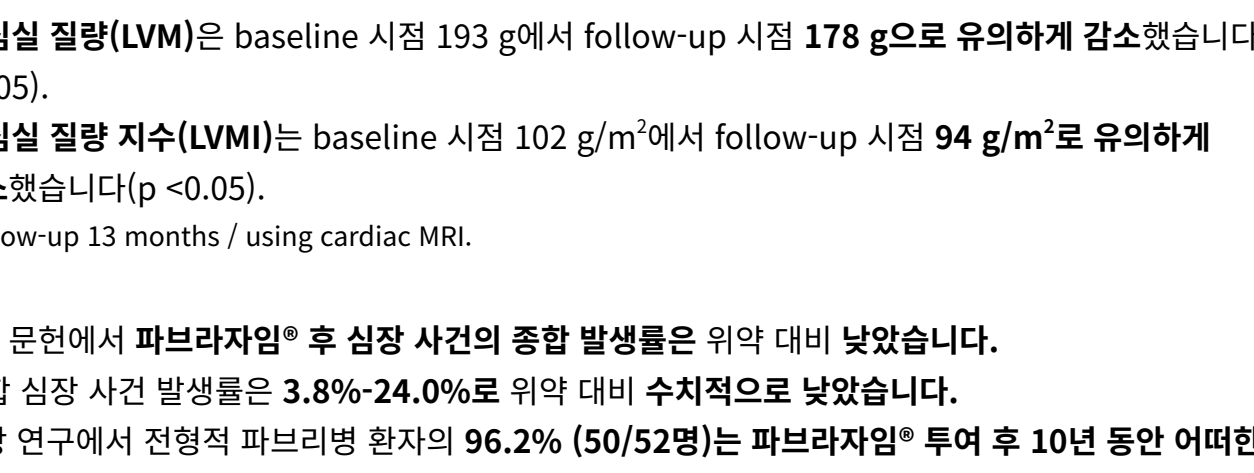
※ Follow-up 1-10 years.

파브라자임® 투여 후 심장 평가변수 개선

심장 구조 개선 [6개 문헌 체계적 고찰]



심장 질량 개선 [1개 문헌 체계적 고찰]



Conclusions

- 여러 연구들을 체계적 문헌 고찰한 결과, **Agalsidase beta는 파브리병 환자의 심장 두께 및 질량을 baseline 대비 유의하게 개선**했습니다(p <0.05).
- **Agalsidase beta**는 위약 대비 **심장/뇌혈관 사건의 종합 발생률을 수치적으로 감소**시켰습니다.

Abbreviation

α-gal A, α-galactosidase A; **GLA,** α-gal A gene; **GL3,** globotriaosylceramide; **IVST,** interventricular septal thickness; **LVPWT,** left ventricular posterior wall thickness; **LVH,** left ventricular hypertrophy; **LVM,** left ventricular mass; **LVMI,** left ventricular mass index

References

Oudit GY, *et al.* A systematic literature review to evaluate the cardiac and cerebrovascular outcomes of patients with Fabry disease treated with agalsidase Beta. *Front Cardiovasc Med.* 2025 Jan 21;11:1415547.

제품을 처방하기 전에 반드시 국내 허가사항을 확인하시기 바랍니다.

파브라자임주35밀리그램(아갈시다제베타) (문안개정년월일 2020.06.02)

MAT-KR-2502134-1.0-11/2025