



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/670094/2015
EMA/H/C/002145

Резюме на EPAR за обществено ползване

Glybera

alipogene tiparvovec

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Glybera. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Glybera.

Какво представлява Glybera?

Glybera представлява лекарство, което съдържа активното вещество алипоген типарвовек (*alipogene tiparvovec*). Предлага се под формата на инжекционен разтвор.

Glybera е лекарствен продукт за модерна терапия, наречен „продукт за генна терапия“. Този вид лекарство действа чрез въвеждане на гени в организма.

За какво се използва Glybera?

Glybera се използва за лечение на възрастни с липопротеин липазен дефицит, страдащи от тежки или многократни епизоди на панкреатит (възпаление на панкреаса), въпреки спазването на диета с ниско съдържание на мазнини.

Липопротеин липазният дефицит е рядко заболяване, при което пациентите имат дефект в гените за липопротеин липаза — ензим, който отговаря за разграждането на мазнините. Пациентите с това заболяване имат нужда от строга диета с ниско съдържание на мазнини и са склонни към рецидивиращи епизоди на панкреатит, който представлява тежко и животозастрашаващо усложнение.

Glybera е предназначен само за пациенти, чиято диагноза е потвърдена с подходящо генетично изследване и които имат установими нива на ензима липопротеин липаза в кръвта.

Тъй като броят на пациентите с липопротеин липазен дефицит е малък, болестта се счита за „рядка“ и Glybera е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 8 март 2004 г.



Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Как се използва Glybera?

Glybera трябва да се предписва и прилага само под наблюдението на лекар с опит в лечението на липопротеин липазен дефицит и в прилагането на генна терапия.

Glybera се прилага като еднократно лечение, включващо множество инжекции в мускулите на горната и долната част на краката. Количеството инжектирано лекарство и броят на инжекциите зависят от теглото на пациента. За повече информация относно дозата Glybera, която следва да се приложи, вижте кратката характеристика на продукта (също част от EPAR).

Три дни преди и дванадесет седмици след лечението с Glybera на пациентите се прилага имunosупресивно лечение, за да се потисне реакцията на имунната система срещу лекарството. Поради необходимостта от многократно инжектиране се препоръчва да се прилага с гръбначен или проведен анестетик (лекарства, които обезчувствяват определени части от тялото, за да се блокира болката).

Как действа Glybera?

Активното вещество в Glybera, алипоген типарвовек, се извлича от вирус, който е модифициран, за да може да вкара гена за липопротеин липаза в клетките на организма. При инжектиране в мускулите той коригира дефицита на липопротеин липаза, като прави мускулните клетки способни да произведат този ензим. След това произведеният ензим помага за разграждането на мазнините в кръвта, като по този начин понижава броя на епизодите на панкреатит и тежестта на заболяването.

Модифицираният вирусен материал, използван в Glybera, не причинява инфекции и не може да се възпроизвежда.

Как е проучен Glybera?

Glybera е проучен при 27 пациенти с липопротеин липазен дефицит, спазващи диета с ниско съдържание на мазнини. Повечето пациенти, приемащи Glybera, приемат също имunosупресивно лечение. Основните мерки за ефективност са понижаването на нивата на мазнини в кръвта след хранене и понижаването на броя на епизодите на панкреатит.

Какви ползи от Glybera са установени в проучванията?

Данните показват понижаване на нивата на мазнини в кръвта след хранене при някои пациенти. При други се наблюдава понижаване на броя на епизодите на панкреатит, както и по-малко хоспитализации и престой в интензивно отделение. Макар че данните са само за малък брой пациенти, резултатите показват, че Glybera може да е от полза за пациентите с тежки или многократни епизоди на панкреатит.

Какви са рисковете, свързани с Glybera?

Най-честата нежелана лекарствена реакция, съобщавана при Glybera, е болка в крайниците след инжектиране и настъпва при една трета от пациентите. Други често съобщавани нежелани лекарствени реакции са главоболие, умора, хипертермия (повишена телесна температура) и контузии (кръвонасядане) и увеличени нива на ензима креатинин киназа в кръвта (показател за

увреждане на мускулната тъкан). Един пациент е диагностициран с белодробна емболия (съсиреци в кръвоносните съдове, които снабдяват белите дробове) седем седмици след лечението. Предвид малкия брой лекувани пациенти тези нежелани реакции не дават пълна представа за честотата и естеството на нежеланите лекарствени реакции при Glybera. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Glybera, вижте листовката.

Не трябва да се прилага при пациенти с имунна недостатъчност (отслабен имунитет), повишен риск от кървене и мускулни заболявания. Една седмица преди и един ден след лечението с Glybera не трябва да се използват противосъсирващи лекарства, които могат да увеличат кървенето. Пациентите не трябва да употребяват и перорални противозачатъчни. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Glybera е разрешен за употреба?

След внимателно разглеждане на всички доказателства и обстоятелства около заболяването, включително изключително рядкото му разпространение, CHMP реши, че резултатите от проучванията показват, че ползите от Glybera са по-големи от рисковете при пациенти с тежки или многократни епизоди на панкреатит въпреки спазването на диета с ниско съдържание на мазнини. Това е подгрупа от тежко болни пациенти, по отношение на които има силно неудовлетворени медицински потребности. Поради това CHMP препоръча да се издаде разрешение за употреба на това лекарство.

Glybera е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Това означава, че поради рядкото разпространение на болестта не е било възможно да се получи пълна информация за лекарството. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Glybera?

Съгласно условията на разрешението за употреба фирмата трябва да предостави допълнителни данни за нивата на мазнините в кръвта след хранене и за имунния отговор към Glybera при нови пациенти. Освен това фирмата ще предостави данни от регистър, който проследява резултатите при пациентите, лекувани с Glybera, и ще въведе допълнителна фаза в производството на продукта, за да подобри профила на безопасност.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Glybera?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Glybera се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и в листовката за Glybera, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

В допълнение фирмата е въвела програма с ограничен достъп, за да гарантира, че Glybera се използва правилно след потвърждаване на диагнозата. Лекарството ще се предоставя само на лекари, които са получили съответните обучителни материали, и ще се използва за лечение единствено на пациенти, включени в регистъра. Освен това фирмата ще предостави обучителни материали за пациентите и здравните специалисти, включително информация как да се въвежда Glybera и как да се управляват рисковете, свързани с лекарството. Пациентите ще получат също предупредителна карта за пациентите.

Допълнителна информация за Glybera:

На 25 октомври 2012 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Glybera, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Glybera може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението с Glybera прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Glybera може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Дата на последно актуализиране на текста 10-2015.

Лекарствен продукт с невалидно разрешение за употреба