



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Glybera

alipogenum tiparvovecum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Glybera. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek používání přípravku Glybera.

Co je Glybera?

Glybera je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku alipogen tiparvovek. K dispozici je ve formě injekčního roztoku.

Přípravek Glybera je druh léčivého přípravku pro moderní terapie označovaný jako „přípravek pro genovou terapii“. Jedná se o druh léčivého přípravku, který působí tak, že do těla dodává geny.

K čemu se přípravek Glybera používá?

Přípravek Glybera se používá k léčbě dospělých s deficitem (nedostatkem) lipoproteinové lipázy, kteří trpí závažnými nebo opakovanými záchvaty pankreatitidy (zánětu slinivky břišní) navzdory dodržování diety s nízkým obsahem tuků.

Deficit lipoproteinové lipázy je vzácné onemocnění, při kterém pacienti vykazují poruchu genu pro lipoproteinovou lipázu, enzymu odpovědného za odbourávání tuků. Pacienti s tímto onemocněním musejí dodržovat přísnou dietu s nízkým obsahem tuků a mají sklon k opakovaným záchvatům pankreatitidy, která představuje závažnou komplikaci, jež může vést k ohrožení života.

Přípravek Glybera je určen pouze pro pacienty, u nichž bylo onemocnění potvrzeno náležitým genetickým vyšetřením a kteří vykazují měřitelnou hladinu enzymu lipoproteinové lipázy v krvi.

Jelikož počet pacientů s deficitem lipoproteinové lipázy je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Glybera byl dne 8. března 2004 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.



Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Jak se přípravek Glybera používá?

Přípravek Glybera by měl předepisovat pouze lékař s kvalifikací pro léčbu deficitu lipoproteinové lipázy a pro genovou terapii a měl by být podáván pod jeho dohledem.

Přípravek Glybera se podává jako jednorázová léčba zahrnující opakované injekce do svalů horní a dolní části dolních končetin. Množství injekčně podávaného léčivého přípravku a počet injekcí závisí na tělesné hmotnosti pacienta. Podrobnější informace o dávkování přípravku Glybera jsou uvedeny v souhrnu údajů o přípravku (rovněž součástí zprávy EPAR).

Po dobu tří dnů před léčbou přípravkem Glybera a dvanácti týdnů po ní dostávají pacienti imunosupresiva, která snižují reakci imunitního systému organismu proti léčivému přípravku. Vzhledem k tomu, že je třeba podat více injekcí, doporučuje se aplikovat je při spinální nebo regionální anestezii (podání léčivých přípravků, které znecitliví určité části těla a zabraňují vnímání bolesti).

Jak přípravek Glybera působí?

Léčivá látka v přípravku Glybera, alipogen tiparvovek, je odvozena z viru, který byl upraven tak, aby přenášel gen pro lipoproteinovou lipázu do buněk organismu. Po injekčním podání do svalů upravuje deficit lipoproteinové lipázy tím, že umožňuje svalovým buňkám, aby tento enzym vytvářely. Enzym vytvořený těmito buňkami poté může pomáhat odbourávat tuky v krvi a snižovat tak počet záchvatů pankreatitidy a závažnost onemocnění.

Upravený virový materiál použitý v přípravku Glybera nevyvolává infekce a nemůže tvořit vlastní kopie.

Jak byl přípravek Glybera zkoumán?

Přípravek Glybera byl zkoumán u 27 pacientů s deficitem lipoproteinové lipázy, kteří dodržovali dietu s nízkým obsahem tuků. Většina pacientů léčených přípravkem Glybera užívala také imunosupresiva. Hlavním ukazatelem účinnosti bylo snížení hladiny tuků v krvi po jídle, jakož i počtu záchvatů pankreatitidy.

Jaký přínos přípravku Glybera byl prokázán v průběhu studií?

Z údajů vyplynulo, že u některých pacientů došlo ke snížení hladiny tuků v krvi po jídle. U některých pacientů bylo také zaznamenáno snížení počtu záchvatů pankreatitidy i počtu hospitalizací nebo pobytů na jednotce intenzivní péče. I když údaje pocházejí pouze od malého počtu pacientů, výsledky naznačují, že přípravek Glybera by mohl být pro pacienty se závažnými nebo opakovanými záchvaty pankreatitidy přínosný.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Glybera?

Nejčastějším nežádoucím účinkem hlášeným v souvislosti s přípravkem Glybera je bolest dolních končetin po podání injekcí, která se vyskytla u třetiny pacientů. Mezi další hlášené nežádoucí účinky patří bolest hlavy, únava, hypertermie (vysoká tělesná teplota), kontuze (pohmoždění) a zvýšená hladina enzymu kreatinkinázy v krvi (ukazatel poškození svalové tkáně). U jednoho pacienta byla sedm týdnů po léčbě diagnostikována plicní embolie (sraženiny v krevních cévách zásobujících plíce). Vzhledem k malému počtu léčených pacientů uvedené nežádoucí účinky neposkytují úplný obraz

četnosti a povahy nežádoucích účinků přípravku Glybera. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Glybera je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Glybera nesmějí užívat pacienti s imunodeficiencí (oslabenou imunitou), zvýšeným rizikem krvácení a s onemocněním svalů. Týden před léčbou přípravkem Glybera a jeden den po jeho podání se nesmějí užívat antikoagulační léčivé přípravky (přípravky proti srážlivosti krve), které mohou zvyšovat riziko krvácení. Pacienti také nesmějí užívat perorální antikoncepci. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Glybera schválen?

Po pečlivém zvážení všech důkazů a okolností nemoci, včetně její mimořádné vzácnosti, dospěl výbor CHMP k závěru, že z výsledků studií vyplývá, že přínosy přípravku Glybera u pacientů, kteří trpí závažnými nebo opakovanými záchvaty pankreatitidy navzdory dietě s nízkým obsahem tuků, převyšují jeho rizika. Jedná se o podskupinu vážně postižených pacientů, kteří nutně potřebují lékařskou péči, již se jim nedostávalo. Výbor CHMP proto doporučil udělit léčivému přípravku rozhodnutí o registraci.

Přípravek Glybera byl registrován za „výjimečných okolností“. Znamená to, že vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Glybera získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Glybera nebyly dosud předloženy?

V souladu s podmínkami rozhodnutí o registraci musí společnost poskytnout další údaje o hladině tuků v krvi po jídle a o imunitní reakci na přípravek Glybera u nových pacientů. Společnost rovněž předloží údaje z registru, který sleduje výsledky u pacientů léčených přípravkem Glybera, a za účelem zlepšení bezpečnostního profilu přípravku doplní jeho výrobní proces o další krok.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Glybera?

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Glybera byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Glybera zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci i pacienti.

Společnost navíc zavedla program omezeného přístupu, který má zajistit, že se přípravek Glybera používá výhradně v případě potvrzené diagnózy. Léčivý přípravek bude dodáván pouze lékařům, kteří obdrželi příslušné vzdělávací materiály, přičemž bude používán jen k léčbě pacientů zařazených do registru. Společnost také pacientům a zdravotnickým pracovníkům poskytne vzdělávací materiály, které budou obsahovat informace o způsobu podávání přípravku Glybera a o tom, jak řídit související rizika. Pacienti obdrží také informační kartu pacienta.

Další informace o přípravku Glybera

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Glybera platné v celé Evropské unii dne 25. října 2012.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Glybera je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Glybera naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Glybera vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 10-2015.

Léčivý přípravek již není registrován