



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR – sammendrag for offentligheden

Glybera alipogentiparvovec

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Glybera. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsførings tilladelse og til sine anbefalinger om, hvordan Glybera skal anvendes.

Hvad er Glybera?

Glybera er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof alipogentiparvovec. Det fås som en injektionsvæske, opløsning.

Glybera er et lægemiddel til avanceret terapi, som kaldes et "genterapiprodukt". Denne type lægemiddel virker ved at tilføre gener til kroppen.

Hvad anvendes Glybera til?

Glybera anvendes til behandling af voksne, der har fået diagnosen lipoproteinlipase-mangel og får svære eller gentagne anfald af akut pankreatitis (betændelse i bugspytkirtlen), selvom de følger en fedtfattig diæt.

Lipoproteinlipase-mangel er en sjælden sygdom, som skyldes en fejl i genet for det fedtnedbrydende enzym lipoproteinlipase. Patienter med sygdommen er nødt til at følge en streng fedtfattig diæt og har tendens til gentagne anfald af pankreatitis, som er en svær og livstruende komplikation.

Glybera er kun til anvendelse i tilfælde, hvor sygdommen er bekræftet ved egnede genetiske test, og hvor der er målelige mængder af enzymet lipoproteinlipase i blodet.

Da antallet af patienter med lipoproteinlipase-mangel er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Glybera blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 8. marts 2004.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.



Hvordan anvendes Glybera?

Behandling med Glybera skal ordineres og administreres under opsyn af en læge med ekspertise i behandling af lipoproteinlipase-mangel og i genterapi.

Glybera gives som en enkelt behandling bestående af en række injektioner i musklerne i lår og underben. Den injicerede mængde af lægemidlet og antallet af injektioner afhænger af patientens vægt. Yderligere oplysninger om, hvilken dosis af Glybera, der skal gives, fremgår af produktresuméet (også en del af denne EPAR).

I tre dage før behandlingen med Glybera og i tolv dage efter behandlingen gives immunundertrykkende behandling for at dæmpe immunsystemets reaktion mod lægemidlet. På grund af det store antal nødvendige injektioner tilrådes det at bruge rygmarvsbedøvelse eller lokalbedøvelse.

Hvordan virker Glybera?

Det aktive stof i Glybera, alipogentiparvovec, er afledt af et virus, der er ændret, så det kan føre lipoproteinlipase-genet ind i kroppens celler. Når det injiceres i musklerne, korrigerer det lipoproteinlipase-manglen ved at sætte muskelcellerne i stand til at producere enzymet. Det enzym, der produceres af disse celler, kan nedbryde fedtstoffer i blodet, så patienten får færre anfald af pankreatitis, og sygdommens sværhed mindskes.

Det modificerede virusmateriale, der anvendes i Glybera, kan ikke give infektioner og kan ikke formere sig.

Hvordan blev Glybera undersøgt?

Glybera er undersøgt hos 27 patienter, som havde lipoproteinlipase-mangel og var på fedtfattig diæt. Størstedelen af de patienter, der fik Glybera, fik desuden immunundertrykkende behandling. Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på ændringen i blodets fedtstofindhold efter måltiderne og faldet i antallet af anfald af pankreatitis.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Glybera?

Blodets fedtstofindhold efter måltiderne faldt hos nogle af patienterne. Desuden var der færre anfald af pankreatitis hos nogle af patienterne og færre indlæggelser og ophold på intensivafdelinger. Skønt der kun fandtes resultater for et lille antal patienter, viser de, at Glybera vil være til fordel for patienter med svære eller gentagne anfald af pankreatitis.

Hvilken risiko er der forbundet med Glybera?

Den hyppigste bivirkning, der blev indberettet med Glybera, var smerter i benene efter injektionerne, hvilket forekom hos en tredjedel af patienterne. Andre almindelige indberettede bivirkninger er hovedpine, træthed, hypertermi (høj kropstemperatur), blå mærker (kontusioner) og et forhøjet niveau af enzymet kreatininkinase i blodet (en markør for muskelskader). Én patient fik diagnosen lungeemboli (blodpropper i de kar, der forsyner lungerne) syv uger efter behandlingen. På baggrund af det lille antal behandlede patienter giver disse bivirkninger ikke et fuldstændigt billede af hyppigheden og arten af bivirkningerne af Glybera. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Glybera fremgår af indlægssedlen.

Glybera må ikke anvendes hos patienter med nedsat immunforsvar, forhøjet blødningsrisiko og muskelsygdom. Blodfortyndende (antikoagulerende) lægemidler kan øge blødningstendensen og må

ikke anvendes i tidsrummet fra én uge før behandlingen med Glybera til én dag efter behandlingen. Patienterne må heller ikke bruge oral svangerskabsforebyggelse. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Glybera godkendt?

Efter nøje gennemgang af al dokumentationen og omstændighederne omkring sygdommen, herunder dens ekstreme sjældenhed, konkluderede CHMP, at undersøgelserne viste, at fordelene ved Glybera er større end risiciene hos patienter, der får svære eller gentagne anfald af pankreatitis, uanset at de følger en fedtfattig diæt. Der er tale om en undergruppe af svært ramte patienter med et stort uopfyldt behandlingsbehov. CHMP anbefalede derfor udstedelse af markedsføringstilladelse.

Glybera er godkendt under "særlige omstændigheder" da det som følge af sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at undersøge lægemidlet fuldstændigt. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Glybera?

I henhold til vilkårene for godkendelsen skal virksomheden forelægge yderligere data om fedtindholdet i blodet efter måltiderne og om immunresponsen på Glybera hos nye patienter. Virksomheden vil desuden forelægge data fra et register til overvågning af resultaterne af behandling med Glybera og vil tilføje et led i fremstillingsprocessen for at forbedre produktets sikkerhedsprofil.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Glybera?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Glybera anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Glybera, herunder passende forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge.

Ydermere har virksomheden iværksat et program for begrænset adgang for at sikre, at Glybera anvendes korrekt, når diagnosen er bekræftet. Lægemidlet må kun udleveres til læger, der har fået passende oplysningsmateriale, og må kun anvendes til behandling af patienter, der er optaget i registret. Virksomheden vil desuden udlevere oplysningsmateriale til patienter og sundhedspersoner om, hvordan Glybera skal gives, og hvordan man håndterer risiciene ved lægemidlet. Patienterne vil desuden få udleveret et patientinformationskort.

Andre oplysninger om Glybera

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Glybera den 25. oktober 2012.

Den fuldstændige EPAR for Glybera findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Glybera, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Glybera findes på EMA's websted under: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 10-2015.