



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Glybera

τιπαρβοϊός φορέας αλιπογονιδίου

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Glybera. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Glybera.

Τι είναι το Glybera;

Το Glybera είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία τιπαρβοϊός φορέας αλιπογονιδίου. Διατίθεται υπό μορφή ενέσιμου διαλύματος.

Το Glybera είναι ένα είδος φαρμάκου προηγμένων θεραπειών που ονομάζεται «φάρμακο γονιδιακής θεραπείας». Πρόκειται για ένα είδος φαρμάκου που δρα μέσω της χορήγησης γονιδίων στον οργανισμό.

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Glybera;

Το Glybera χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με ανεπάρκεια λιποπρωτεϊνικής λιπάσης οι οποίοι, παρά τη διατροφή τους χαμηλής περιεκτικότητας σε λιπαρά οξέα, εμφανίζουν σοβαρά ή πολλαπλά επεισόδια παγκρεατίτιδας (λοίμωξη του παγκρέατος).

Η ανεπάρκεια λιποπρωτεϊνικής λιπάσης είναι μια σπάνια ασθένεια κατά την οποία οι ασθενείς εμφανίζουν ελάττωμα στο γονίδιο της λιποπρωτεϊνικής λιπάσης, ένα ένζυμο που ευθύνεται για τη διάσπαση των λιπαρών οξέων. Οι ασθενείς που πάσχουν από τη συγκεκριμένη ασθένεια είναι επιρρεπείς σε επαναλαμβανόμενα επεισόδια παγκρεατίτιδας, μιας σοβαρής και απειλητικής για τη ζωή επιπλοκής, και πρέπει να ακολουθούν αυστηρή δίαιτα χαμηλή σε λιπαρά οξέα.

Το Glybera συνιστάται μόνο για ασθενείς διαγνωσθέντες κατόπιν κατάλληλων γενετικών εξετάσεων, οι οποίοι εμφανίζουν ανιχνεύσιμα επίπεδα λιποπρωτεϊνικής λιπάσης στο αίμα τους.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με ανεπάρκεια λιποπρωτεϊνικής λιπάσης, και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Glybera χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 8 Μαρτίου του 2004.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom
Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555
Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς χρησιμοποιείται το Glybera;

Η θεραπεία με Glybera πρέπει να συνταγογραφείται και να χορηγείται μόνο υπό την επίβλεψη γιατρού ειδικευμένου στη θεραπεία ασθενών με ανεπάρκεια λιποπρωτεϊνικής λιπάσης και στη χορήγηση γονιδιακής θεραπείας.

Το Glybera χορηγείται ως εφάπαξ σειρά ενδομυϊκών ενέσεων στο άνω και στο κάτω τμήμα των κάτω άκρων. Η ποσότητα του προς έγχυση φαρμάκου και ο αριθμός των ενέσεων εξαρτώνται από το σωματικό βάρος του ασθενή. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη συνιστώμενη δόση του Glybera, διαβάστε την περιλήψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR).

Επί τρεις ημέρες πριν από τη χορήγηση του Glybera και επί δώδεκα εβδομάδες μετά τη χορήγησή του, οι ασθενείς υποβάλλονται σε ανοσοκατασταλτική θεραπεία προκειμένου να μειωθούν οι αντιδράσεις του ανοσοποιητικού συστήματος του οργανισμού έναντι του φαρμάκου. Λόγω του μεγάλου αριθμού μεμονωμένων ενέσεων που απαιτούνται κατά τη θεραπεία, συνιστάται η ταυτόχρονη χορήγηση ραχιαίας ή τοπικής αναισθησίας (φάρμακα που προκαλούν παροδική αναισθησία σε συγκεκριμένα μέρη του σώματος με σκοπό την αποφυγή του πόνου).

Πώς δρα το Glybera;

Η δραστική ουσία του Glybera, ο τιπαρβοϊός φορέας αλιπογονιδίου, προέρχεται από έναν ιό που έχει τροποποιηθεί προκειμένου να μεταφέρει το γονίδιο της λιποπρωτεϊνικής λιπάσης στα κύτταρα του οργανισμού. Όταν χορηγείται με ενδομυϊκή ένεση, διορθώνει την έλλειψη της λιποπρωτεϊνικής λιπάσης καθιστώντας τα μυϊκά κύτταρα ικανά να παράγουν το εν λόγω ένζυμο, το οποίο, στη συνέχεια, μπορεί να συνδράμει στη διάσπαση των λιπαρών οξέων στο αίμα, μειώνοντας κατ' αυτόν τον τρόπο τον αριθμό των επεισοδίων παγκρεατίτιδας και μετριάζοντας τη σοβαρότητα της ασθένειας.

Το τροποποιημένο ιικό υλικό που χρησιμοποιείται για την παρασκευή του Glybera δεν προκαλεί λοιμώξεις και δεν μπορεί να παραγάγει αντίγραφα του εαυτού του.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Glybera;

Το Glybera έχει μελετηθεί σε 27 ασθενείς με ανεπάρκεια λιποπρωτεϊνικής λιπάσης, οι οποίοι ακολουθούν διατροφή χαμηλής περιεκτικότητας σε λιπαρά οξέα. Στην πλειονότητα των ασθενών που έλαβαν Glybera χορηγήθηκε και ανοσοκατασταλτική θεραπεία. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μείωση του επιπέδου λιπαρών οξέων στο αίμα μετά από γεύμα και η μείωση του αριθμού των επεισοδίων παγκρεατίτιδας.

Ποιο είναι το όφελος του Glybera σύμφωνα με τις μελέτες;

Τα δεδομένα που προέκυψαν από τις μελέτες κατέδειξαν μείωση του επιπέδου των λιπαρών οξέων στο αίμα. Επίσης, παρατηρήθηκε μείωση του αριθμού επεισοδίων παγκρεατίτιδας σε μερικούς ασθενείς, καθώς και μείωση των περιπτώσεων εισαγωγής σε νοσοκομείο και νοσηλείας σε μονάδες εντατικής θεραπείας. Παρά το γεγονός ότι υπήρχαν στοιχεία μόνο για μικρό αριθμό ασθενών, τα αποτελέσματα υποδεικνύουν ότι το Glybera θα μπορούσε να ήταν ωφέλιμο για ασθενείς με σοβαρά ή επαναλαμβανόμενα επεισόδια παγκρεατίτιδας.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Glybera;

Η συχνότερη ανεπιθύμητη ενέργεια του Glybera, η οποία παρατηρείται στο ένα τρίτο των ασθενών, είναι πόνος στα κάτω άκρα μετά τη χορήγηση. Στις υπόλοιπες αναφερθείσες ανεπιθύμητες ενέργειες περιλαμβάνονται κεφαλαλγία, κόπωση, υπερθερμία (υψηλή θερμοκρασία του σώματος), μώλωπες (μελανιές) και αυξημένα επίπεδα του ενζύμου κρεατινίνη κινάση στο αίμα (δείκτης μέτρησης βλάβης στον μυϊκό ιστό). Σε έναν ασθενή διαγνώσθηκε πνευμονική εμβολή (σχηματισμός θρόμβων εντός των αιμοφόρων αγγείων που τροφοδοτούν τους πνεύμονες) επτά εβδομάδες μετά τη χορήγηση της θεραπείας. Δεδομένου του μικρού αριθμού των ασθενών που έλαβαν θεραπευτική αγωγή, οι εν λόγω ανεπιθύμητες ενέργειες δεν προσφέρουν μια πλήρη εικόνα της συχνότητας και της φύσης των ανεπιθύμητων ενεργειών του Glybera. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Glybera περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Glybera δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς με ανοσοανεπάρκεια (εξασθενημένο ανοσοποιητικό σύστημα), σε ασθενείς με αυξημένο κίνδυνο αιμορραγίας και σε ασθενείς που πάσχουν από μυϊκή νόσο. Μία εβδομάδα πριν από την έναρξη της θεραπείας με Glybera έως μία ημέρα μετά την ένεση δεν πρέπει να χορηγούνται αντιπηκτικά φάρμακα, διότι μπορεί να προκαλέσουν αύξηση της αιμορραγίας. Τέλος, οι ασθενείς δεν πρέπει να λαμβάνουν αντισυλληπτικά χορηγούμενα από το στόμα. Ο πλήρης κατάλογος των περιορισμών περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Glybera;

Κατόπιν προσεκτικής εξέτασης όλων των αποδεικτικών στοιχείων και των περιστάσεων που σχετίζονται με την ασθένεια, περιλαμβανομένης της σπανιότητας της νόσου, η CHMP απεφάνθη ότι βάσει των αποτελεσμάτων των μελετών τα οφέλη του Glybera υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό όσον αφορά ασθενείς που εμφανίζουν σοβαρά ή πολλαπλά επεισόδια παγκρεατίτιδας, παρά τη χαμηλή σε λιπαρά οξέα διατροφή που ακολουθούν. Πρόκειται για υποομάδα σοβαρά προσβεβλημένων ασθενών με σημαντική ιατρική ανάγκη. Ως εκ τούτου, η επιτροπή εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Το Glybera εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων». Αυτό σημαίνει ότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το εν λόγω φάρμακο. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Glybera αναμένεται να υποβληθούν;

Σύμφωνα με τους όρους χορήγησης της άδειας κυκλοφορίας, η παρασκευάστρια εταιρεία οφείλει να παράσχει περαιτέρω στοιχεία σχετικά με τα επίπεδα συγκέντρωσης των λιπαρών οξέων στο αίμα μετά από γεύμα και την ανοσολογική απόκριση στο Glybera σε περιπτώσεις νέων ασθενών. Επίσης, η εταιρεία θα παρέχει δεδομένα από ένα μητρώο ασθενών προκειμένου να παρακολουθεί τα αποτελέσματα όσων λαμβάνουν θεραπεία με Glybera, και θα προσθέσει ένα ακόμη στάδιο στην παρασκευή του προϊόντος προκειμένου να βελτιώσει την εικόνα ασφαλείας.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Glybera;

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το Glybera χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του εν λόγω σχεδίου, στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του Glybera συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με

την ασφάλεια, καθώς και τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Επιπλέον, η παρασκευάστρια εταιρεία έχει θέσει σε εφαρμογή ένα πρόγραμμα περιορισμένης πρόσβασης προκειμένου να διασφαλίσει την ορθή χρήση του Glybera σε ασθενείς με επιβεβαιωμένη διάγνωση. Μόνο γιατροί που έχουν λάβει το κατάλληλο εκπαιδευτικό υλικό θα μπορούν να προμηθεύονται το φάρμακο, το οποίο θα χορηγείται μόνο σε ασθενείς που είναι εγγεγραμμένοι στο μητρώο. Τέλος, η παρασκευάστρια εταιρεία θα παράσχει στους ασθενείς και στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας εκπαιδευτικό υλικό καθώς και πληροφορίες σχετικά με τον τρόπο χορήγησης του Glybera και αντιμετώπισης τυχόν κινδύνων που σχετίζονται με το φάρμακο. Στους ασθενείς θα χορηγηθεί και κάρτα προειδοποίησης ασθενή.

Λοιπές πληροφορίες για το Glybera

Στις 25 Οκτωβρίου 2012 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Glybera.

Η πλήρης EPAR του Glybera διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Glybera, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Glybera διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 10-2015.