



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumen del EPAR para el público general

Glybera

alipogén tiparvovec

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Glybera. En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización y unas recomendaciones sobre las condiciones de su uso.

¿Qué es Glybera?

Glybera es un medicamento que contiene el principio activo alipogén tiparvovec. Se presenta en forma de solución inyectable.

Glybera es un tipo de medicamento de terapia avanzada denominado «producto de terapia génica». Se trata de un tipo de medicamento que actúa mediante la inserción de genes en el organismo.

¿Para qué se utiliza Glybera?

Glybera se utiliza para el tratamiento de la deficiencia de la lipoproteína lipasa en adultos que presentan ataques graves o múltiples de pancreatitis (inflamación del páncreas) a pesar de mantener una dieta baja en grasas.

La deficiencia de lipoproteína lipasa es una enfermedad rara en la que los pacientes presentan un defecto en el gen que codifica la lipoproteína lipasa, una enzima responsable de la degradación de las grasas. Los pacientes con esta enfermedad deben seguir una dieta estricta baja en grasas y tienen tendencia a sufrir ataques recurrentes de pancreatitis, que es una complicación grave y potencialmente mortal.

Glybera solo debe emplearse en los pacientes cuya enfermedad ha sido confirmada mediante las pruebas genéticas pertinentes y que presentan concentraciones detectables de la enzima lipoproteína lipasa en sangre.



Debido a que el número de pacientes afectados por la deficiencia de lipoproteína lipasa es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Glybera fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 8 de marzo de 2004.

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.

¿Cómo se usa Glybera?

Glybera solo debe ser prescrito y administrado bajo la supervisión de un médico con experiencia en el tratamiento de la deficiencia de la lipoproteína lipasa y en genoterapia.

Glybera se administra como tratamiento único con múltiples inyecciones en los músculos de las piernas. La cantidad de medicamento que se debe inyectar y el número de inyecciones dependen del peso del paciente. Para mayor información sobre la dosis de Glybera a administrar, consulte el Resumen de las características del producto (también incluido en el EPAR).

En los tres días previos al tratamiento con Glybera y durante doce semanas posteriormente, se administra a los pacientes un tratamiento inmunodepresor para reducir la reacción del sistema inmunitario del organismo frente al medicamento. Puesto que son necesarias múltiples inyecciones, se recomienda administrarlo con un anestésico raquídeo o regional (medicamentos que insensibilizan ciertas partes del cuerpo para bloquear el dolor).

¿Cómo actúa Glybera?

El principio activo de Glybera, el alipogén tiparvovec, se deriva de un virus que se ha modificado para que pueda llevar el gen de la lipoproteína lipasa a las células del organismo. Cuando se inyecta en los músculos, corrige la deficiencia de lipoproteína lipasa permitiendo a las células musculares producir la enzima. La enzima producida por estas células puede ayudar a degradar las grasas que transporta la sangre, reduciendo el número de pancreatitis y la gravedad de la enfermedad.

El material vírico modificado que se emplea en Glybera no provoca infecciones y no puede hacer copias de sí mismo.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Glybera?

Glybera se ha estudiado en 27 pacientes con deficiencia de lipoproteína lipasa que seguían una dieta baja en grasas. La mayoría de los pacientes tratados con Glybera también recibió tratamiento inmunosupresor. Las variables principales de la eficacia fueron la reducción de las concentraciones de lípidos en sangre después de las comidas y la reducción del número de pancreatitis.

¿Qué beneficio ha demostrado tener Glybera durante los estudios?

Los datos demostraron una reducción de las concentraciones de grasa en sangre después de las comidas en algunos pacientes. También se logró reducir el número de pancreatitis en algunos pacientes y de los ingresos en hospitales y en unidades de cuidados intensivos. Aunque los datos obtenidos se obtuvieron en un número pequeño de pacientes, los resultados indican que Glybera podría tener efectos beneficiosos en pacientes con pancreatitis graves o múltiples.

¿Cuál es el riesgo asociado a Glybera?

El efecto adverso más frecuente con Glybera fue el dolor de piernas tras las inyecciones, observado en un tercio de los pacientes. Otros efectos adversos frecuentes son cefaleas, cansancio, hipertermia

(fiebre), contusiones (hematomas) y elevados niveles de la enzima creatina kinasa en sangre (un indicador del daño al tejido muscular). A un paciente se le diagnosticó embolia pulmonar (coágulos en los vasos sanguíneos que irrigan los pulmones) siete semanas después del tratamiento. Dado el reducido número de pacientes tratados, no pudo obtenerse un cuadro completo de la frecuencia y naturaleza de los efectos adversos de Glybera. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Glybera, ver el prospecto.

Tampoco debe emplearse en pacientes con inmunodeficiencia (debilitamiento del sistema inmunitario), mayor riesgo de hemorragias o enfermedad muscular. Desde una semana antes hasta un día después del tratamiento con Glybera, no deben emplearse medicamentos anticoagulantes, ya que pueden aumentar el riesgo de hemorragias. Los pacientes tampoco deben tomar anticonceptivos orales. La lista completa de restricciones puede consultarse en el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Glybera?

Tras una minuciosa consideración de todos los datos y las circunstancias de la enfermedad, como su extrema rareza, el CHMP concluyó que los resultados de los estudios demostraron que los beneficios de Glybera superan a sus riesgos en pacientes que padecen pancreatitis múltiples o graves a pesar de seguir una dieta baja en grasas. Se trata de un subgrupo de pacientes de gravedad con una necesidad médica no cubierta. El CHMP, por tanto, recomendó conceder al medicamento la autorización de comercialización.

Glybera se ha autorizado en «circunstancias excepcionales», ya que no se ha podido obtener información completa sobre el medicamento, debido a la rareza de la enfermedad. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará la nueva información disponible y el presente resumen se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Glybera?

Según las condiciones de la autorización, la empresa debe aportar más datos sobre las concentraciones de grasas en sangre después de las comidas y sobre la respuesta inmunitaria a Glybera en pacientes de nuevo diagnóstico. La empresa también facilitará informaciones de un registro para controlar el resultado en pacientes tratados con Glybera, y añadirá un estadio a la fabricación del producto para mejorar el perfil de seguridad.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Glybera?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Ionsys se administra de una forma lo más segura posible. Basándose en este plan, se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Glybera la información sobre seguridad que incluye las precauciones pertinentes que deben adoptar los profesionales sanitarios y los pacientes.

La empresa ha implantado un programa de acceso restringido para garantizar el uso correcto de Glybera una vez esté confirmado el diagnóstico. El medicamento solo se distribuirá a los médicos que hayan recibido el material formativo pertinente y únicamente se empleará para tratar a los pacientes que participen en el registro. La empresa que comercializa Glybera facilitará también a los pacientes y los profesionales sanitarios materiales formativos con información sobre cómo administrar Glybera y cómo abordar los riesgos del medicamento. Asimismo, se proporcionará a los pacientes una tarjeta de alerta.

Otras informaciones sobre Glybera

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para Glybera el 25 de octubre de 2012.

El EPAR completo de Glybera puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para más información sobre el tratamiento con Glybera, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Glybera puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 10-2015.