



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Glybera

alipogeentiparvovek

See on ravimi Glybera Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiluba andmist; samuti esitatakse komitee soovitused, kuidas ravimit kasutada.

Mis on Glybera?

Glybera on ravim, mis sisaldab toimeainena alipogeentiparvovekit. Seda turustatakse süstelahusena.

Glybera on geeniteraapiaravimite hulka kuuluv uudne ravim. Need on ravimid, mille toime seisneb geenide viimises organismi.

Milleks Glyberat kasutatakse?

Glyberat kasutatakse ensüüm lipoproteiinlipaasi vaegusega täiskasvanute raviks, kellel on väikese rasvasisaldusega dieedile vaatamata esinenud rasked või korduvad pankreatiidi (kõhunäärme põletiku) episoodid.

Lipoproteiinlipaasi vaegus (LPLD) on harva esinev haigus, mille korral on rasvu lagundavat ensüümi lipoproteiinlipaasi tekitav geen defektne. Selle haigusega patsiendid peavad olema rangelt väikese rasvasisaldusega dieedil ning neil võivad raske ja eluohtliku tüsistusena esineda korduvad pankreatiidiepisoodid.

Glybera on ette nähtud üksnes nende patsientide raviks, kelle haigus on kinnitatud geenitestiga ja kelle veres on tuvastatavas koguses ensüümi lipoproteiinlipaasi.

Et lipoproteiinlipaasi vaegusega patsiente on vähe ja see haigus esineb harva, nimetati Glybera 8. märtsil 2004 harvikravimiks.

Glybera on retseptiravim.



Kuidas Glyberat kasutatakse?

Glyberat tohib määrata ja manustada ainult lipoproteiinlipaasi vaeguse ravis ning geeniteraapias kogenud arsti järelevalve all.

Glyberat manustatakse ühe ravikuurina, mis koosneb mitmest süstist reie ja sääre lihastesse. Ravimi süstitav kogus ja süstete arv sõltuvad patsiendi kehakaalust. Glybera annuse üksikasjalik teave on ravimi omaduste kokkuvõttes, mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa.

3 ööpäeva enne Glybera manustamist ja 12 nädalat selle järel saavad patsiendid immunosupressioonravi, et vähendada organismi immuunsüsteemi reaktsiooni ravimile. Et süsteid on vaja mitu, on Glyberat soovitatav manustada spinaal- või regionaalanesteesis (anesteesiameetod, mis muudab organismi teatud piirkonna valu suhtes tundetuks).

Kuidas Glybera toimib?

Glybera toimeaine alipogeentiparvovek saadakse viirusest, mida on modifitseeritud viima organismi rakkudesse lipoproteiinlipaasi tekitavat geeni. Lihasesse süstimisel korrigeerib see lipoproteiinlipaasi vaeguse, võimaldades lihaskudedel seda ensüümi toota. Lihaskudetes tekkinud ensüüm aitab veres sisalduvaid rasvu lagundada, mis vähendab pankreatiidiepisoode arvu ja raskust.

Glyberas kasutatav modifitseeritud viirusmaterjal ei põhjusta infektsiooni ja see ei paljune nagu viirus.

Kuidas Glyberat uuriti?

Glyberat uuriti 27 lipoproteiinlipaasi vaegusega patsiendil, kes olid väikese rasvasisaldusega dieedil. Enamik Glyberat manustavatest patsientidest said ka immunosupressioonravi. Efektiivsuse põhinäitajad olid söömisjärgse rasvasisalduse vähenemine veres ja pankreatiidiepisoode arvu vähenemine.

Milles seisneb uuringute põhjal Glybera kasulikkus?

Mõnel patsiendil täheldati söömisjärgse rasvasisalduse vähenemist veres. Samuti vähenes mõnel patsiendil pankreatiidiepisoode arv ja haiglaravi vajadus ning intensiivraviosakonnas viibimise aeg oli lühem. Kuigi andmed pärinevad vähestelt patsientidelt, näitavad uuringutulemused, et Glybera võib olla raskete või korduvate pankreatiidiepisoodega patsientidele kasulik.

Mis riskid Glyberaga kaasnevad?

Glybera kõige sagedam kõrvalnäht, mida esines kolmandikul patsientidest, oli süstimisjärgne valu jalgades. Teised teatatud sagedad kõrvalnähtud on näiteks peavalu, väsimus, hüpertermia (kõrge kehatemperatuur), verevalumid ja ensüümi kreatiinkinaasi suur sisaldus veres (lihaskoe kahjustuse näitaja). Ühel patsiendil diagnoositi 7 nädalat pärast ravi kopsuemboolia (trombid kopsuarterites). Uuringus osalenud patsientide väikese arvu tõttu ei anna need andmed täielikku ülevaadet Glybera kõrvalnähtude esinemissagedusest ja iseloomust. Glybera kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Glyberat ei tohi kasutada immuunpuudulikkusega (nõrgenenud immuunsusega) patsiendid ega verejooksude ja lihasehaiguste suure riskiga patsiendid. Verejooksuriski suurendavaid antikoagulante (hüübimisvastaseid ravimeid) ei tohi kasutada nädal enne ja üks ööpäev pärast Glybera manustamist. Samuti ei tohi patsiendid samal ajal kasutada suukaudseid kontratseptiive (rasestumisvastaseid vahendeid). Piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Glybera heaks kiideti?

Pärast kõigi olemasolevate andmete ja haiguse asjaolude, sealhulgas haiguse väga väikese esinemissageduse hoolikat kaalumist järeltas inimravimite komitee, et uuringutulemuste alusel ületab Glybera kasulikkus raskete või korduvate pankreatiidiepisoosidega patsientidel (kellel need esinevad vaatamata väikese rasvasisaldusega dieedile) ravimiga kaasnevaid riske. Haigus halvendab oluliselt selle patsiendirühma elukvaliteeti ja muud raviviise puuduvad. Inimravimite komitee soovitas seepärast anda ravimi müügiloo.

Glybera müügiluba anti erandkorras, sest kuna haigus esineb harva, ei olnud võimalik saada Glybera kohta täielikku teavet. Euroopa Raviamet vaatab kogu uue teabe igal aastal läbi ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

Mis teavet Glybera kohta veel oodatakse?

Müügiloo tingimuste kohaselt peab ettevõtte esitama uute patsientide andmed vere süüsi järgse rasvasisalduse ja Glybera suhtes tekkiva immuunvastuse kohta. Ettevõtte esitab ka Glybera ravitulemuste patsiendiregistri andmed ja lisab ravimi tootmisprotsessi etapi, mis parandab ravimi ohutusprofiili.

Mis meetmed võetakse, et tagada Glybera ohutu ja efektiivne kasutamine?

Töötati välja riskijuhtimiskava, et tagada Glybera võimalikult ohutu kasutamine. Selle alusel lisati Glybera omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele ravimi ohustusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

Lisaks on ettevõtte kehtestanud piiratud ravimikasutuse programmi, et tagada Glybera nõuetekohane kasutamine pärast haiguse diagnoosi kinnitamist. Ravimit tarnitakse üksnes arstidele, kes on saanud vastava teabematerjali, ja seda kasutatakse üksnes patsientidel, kes osalevad ravitulemuste jälgimise registris. Samuti varustab ettevõtte patsiendi ja tervishoiutöötajad teabematerjaliga, mis sisaldab Glybera manustamise ja ravimiga kaasnevate riskide ohjamise teavet. Patsientidele antakse ka patsiendi hoiatuskaart.

Muu teave Glybera kohta

Euroopa Komisjon andis Glybera müügiloo, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 25. oktoobril 2012.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Glybera kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Kui vajate Glyberaga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Glybera kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 10-2015.