



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Julkinen EPAR-yhteenveto

---

# Glybera

## alipogeenitiparvoveekki

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR) joka koskee Glybera-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon sekä suosituksiin lääkevalmisteen käytön ehdoista.

### Mitä Glybera on?

Glybera on lääkevalmiste, jonka vaikuttava aine on alipogeenitiparvoveekki. Sitä on saatavana injektioneesteinä.

Glybera on pitkälle kehittyneissä hoidoissa käytettävä geenihoidovalmiste. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geenejä elimistöön.

### Mihin Glyberaa käytetään?

Glyberaa käytetään aikuispotilailla, joilla on todettu lipoproteiinilipaasin puutos ja joilla on ollut vaikeita tai useita haimatulehduksia vähärasvaisesta ruokavaliosta huolimatta.

Lipoproteiinilipaasin puutos on harvinainen sairaus, jossa potilaalla on virhe geenissä, joka säätelee lipoproteiinilipaasia, rasvaa hajottavaa entsyymiä. Tätä sairautta sairastavien potilaiden on noudatettava tiukasti vähärasvaista ruokavaliota, ja he ovat alttiita toistuville haimatulehduksille, jotka ovat vakavia ja hengenvaarallisia komplikaatioita.

Glybera on tarkoitettu vain potilaille, joilla sairaus on varmistettu asianmukaisella geenitestauksella ja joiden veressä on havaittava määrä lipoproteiinilipaasientsyymiä.

Koska lipoproteiinilipaasin puutosta sairastavia potilaita on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi, ja Glybera nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 8. maaliskuuta 2004.

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä.



## Miten Glyberaa käytetään?

Glybera-hoitoa saa määrätä ja antaa vain lääkäri, jolla on kokemusta lipoproteiinilipaasin puutosta sairastavien potilaiden hoidosta ja geenihoidon antamisesta.

Glyberaa annetaan yhtenä injektiosarjana reisien ja säärien lihaksiin. Lääkkeen ja injektioiden määrä riippuvat potilaan painosta. Glyberan annostuksesta on lisätietoja valmisteyhteenvedossa (sisältyy myös EPAR-lausuntoon).

Kolmen päivän ajan ennen Glybera-hoitoa ja 12 viikon ajan sen jälkeen potilaille annetaan immunosuppressorihoitoa, joka vähentää kehon immuunijärjestelmän reagoimista lääkevalmistetta vastaan. Koska injektioita annetaan useita, on suositeltavaa antaa potilaalle selkäydin- tai paikallispuudutus (lääkevalmisteita, jotka puuduttavat tietyt kehon osat kivun estämiseksi).

## Miten Glybera vaikuttaa?

Glyberan vaikuttava aine alipogeenitiparvoveekki on johdettu viruksesta, jota on muunneltu siten, että se voi kuljettaa lipoproteiinilipaasigeenin kehon soluihin. Kun lääkevalmiste on injektoitu lihaksiin, se korjaa lipoproteiinilipaasin puutoksen mahdollistamalla entsyymien tuotannon lihassoluissa. Lihassolujen tuottama entsyymi auttaa hajottamaan veressä olevaa rasvaa ja siten vähentää haimatulehdusten määrää ja lieventää sairautta.

Glyberan sisältämä muunneltu virusaines ei aiheuta infektioita eikä voi lisääntyä.

## Miten Glyberaa on tutkittu?

Glyberaa on tutkittu 27 potilaalla, jotka sairastivat lipoproteiinilipaasin puutosta ja jotka noudattivat vähärasvaista ruokavaliota. Suurin osa potilaista, jotka saivat Glyberaa, sai myös immunosuppressorihoitoa. Tehon pääasiallisina mittoina olivat aterian jälkeen mitattujen veren rasva-arvojen aleneminen ja haimatulehdusten määrän väheneminen.

## Mitä hyötyä Glyberasta on havaittu tutkimuksissa?

Tiedot osoittavat, että aterian jälkeen mitatut veren rasva-arvot olivat laskeneet joillakin potilailla. Myös haimatulehdusten määrä väheni joillakin potilailla, samoin kuin sairaalakäynnit ja hoito tehosastolla. Vaikka tiedot koskivat vain pientä määrää potilaita, tulokset viittasivat siihen, että Glyberasta olisi hyötyä potilaille, joilla on ollut vaikeita tai useita haimatulehduksia.

## Mitä riskejä Glyberaan liittyy?

Yleisin Glyberan kohdalla ilmoitettu sivuvaikutus oli kipu jaloissa injektioiden jälkeen. Sitä ilmeni kolmasosalla potilaista. Muita ilmoitettuja yleisiä sivuvaikutuksia ovat päänsärky, väsymys, hypertermia (elimistön korkea lämpötila), ruhjeet ja kreatiinikinaasi-entsyymien kohonnut pitoisuus veressä (joka osoittaa lihaskudoksen vaurioitumista). Yhdellä potilaalla todettiin keuhkoveritulppa seitsemän viikon kuluttua hoidosta. Kun otetaan huomioon potilaiden pieni määrä, nämä sivuvaikutukset eivät anna kattavaa kuvaa Glyberan sivuvaikutusten tiheydestä ja luonteesta. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Glyberan ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Glyberaa ei saa antaa potilaille, joilla on immuunipuutos, suurentunut verenvuotoriski tai lihassairaus. Antikoagulantteja, jotka voivat lisätä verenvuotoa, ei saa käyttää viikkoon ennen Glybera-hoitoa eikä hoidon jälkeisenä päivänä. Potilaat eivät myöskään saa käyttää ehkäisytabletteja. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

## Miksi Glybera on hyväksytty?

Tarkasteltuaan huolellisesti kaikkea näyttöä ja sairauden olosuhteita, myös sen äärimmäistä harvinaisuutta, lääkevalmistekomitea totesi, että tutkimusten tulosten mukaan Glyberan hyöty on sen riskejä suurempi potilailla, joilla on ollut vaikeita tai useita haimatulehduksia vähärasvaisesta ruokavaliosta huolimatta. Tämä on pieni ryhmä vakavasti sairaita potilaita, joiden tärkeää hoitotarvetta ei ole täytetty. Tästä syystä lääkevalmistekomitea suositteli myyntiluvan myöntämistä Glyberaa varten.

Glybera on saanut myyntiluvan poikkeusolosuhteissa. Tämä tarkoittaa sitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Glyberasta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

## Mitä tietoja Glyberasta odotetaan vielä saatavan?

Myyntiluvan ehtojen mukaan yhtiön on toimitettava uusien potilaiden osalta lisätietoja aterian jälkeen mitatuista veren rasva-arvoista ja immuunivasteesta Glyberalle. Yhtiö toimittaa myös tiedot rekisteristä Glyberalla hoidetuista potilaista saaduista tuloksista ja lisää tuotteen valmistukseen vaiheen, joka parantaa sen turvallisuusprofiilia.

## Miten voidaan varmistaa Glyberan turvallinen ja tehokas käyttö?

Glyberan mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on kehitetty riskinhallintasuunnitelma. Tämän suunnitelman mukaisesti valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty Glyberaa koskevaa turvallisuustietoa, mukaan lukien terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi tarkoitetut asianmukaiset varotoimet.

Yhtiö on käynnistänyt lääkevalmisteen rajoittamista koskevan ohjelman varmistaa, että Glyberaa käytetään asianmukaisesti, kun diagnoosi on varmistettu. Lääkevalmistetta toimitetaan vain lääkäreille, jotka ovat saaneet perehdytyspaketin, ja sillä hoidetaan vain potilaita, joiden tiedot ovat rekisterissä. Yhtiö toimittaa myös potilaille ja terveydenhuollon ammattilaisille tarkoitettua perehdytysmateriaalia, joka sisältää tietoa siitä, miten Glyberaa annetaan ja miten lääkkeeseen liittyviä riskejä hallitaan. Potilaat saavat myös potilaskortin.

## Muita tietoja Glyberasta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Glyberaa varten 25. lokakuuta 2012.

Glyberaa koskeva EPAR-arviointilausunto on viraston verkkosivustolla [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisätietoja Glybera-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Glyberaa koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tätä yhteenvetoa on päivitetty viimeksi 10-2015.