



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Glybera

alipogen tiparvovek

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Glybera. Objasnjava kako je Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) ocijenio lijek da bi donio svoje mišljenje u korist izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet te preporuke o uvjetima za primjenu lijeka Glybera.

Što je Glybera?

Glybera je lijek koji sadrži djelatnu tvar alipogen tiparvovek. Dostupan je kao suspenzija za injekciju.

Glybera je vrsta lijeka za naprednu terapiju koji se naziva „lijek za gensku terapiju“. Riječ je o vrsti lijeka koja djeluje unosom gena u tijelo.

Za što se Glybera koristi?

Glybera se koristi za liječenje odraslih osoba s deficiencijom lipoproteinske lipaze (LPLD) koji su imali ozbiljne ili višestruke napadaje pankreatitisa (upale gušterače) usprkos prehrani s niskim sadržajem masnoća.

Deficijencija lipoproteinske lipaze rijetka je bolest u slučaju koje bolesnici imaju nedostatak na genu za lipoprotein lipazu, enzim odgovoran za razgradnju masnoća. Bolesnici s ovom bolesti trebaju biti na strogoj dijeti s niskim sadržajem masnoća, a skloni su ponovnim napadajima pankreatitisa, što je ozbiljna i po život opasna komplikacija.

Lijek Glybera namijenjen je samo za bolesnicima čija je bolest potvrđena odgovarajućim genetskim testiranjem i kod kojih je moguće detektirati razinu enzima lipoproteinske lipaze u krvi.

Budući da je broj bolesnika s deficiencijom lipoproteinske lipaze nizak, ta se bolest smatra „rijetkom“ te je lijek Glybera 08. ožujka 2004. uvršten u skupinu lijekova za rijetke bolesti.

Lijek se izdaje samo na liječnički recept.



Kako se Glybera koristi?

Lijek Glybera smije se propisivati i davati samo uz nadzor liječnika s iskustvom u liječenju deficijencije lipoproteinske lipaze i u genetskoj terapiji.

Glybera se primjenjuje kao jedna terapija koja uključuje višestruke injekcije u mišić bedra i potkoljenice. Količina lijeka koja se ubrizgava i broj injekcija ovise o tjelesnoj težini bolesnika. Za dodatne informacije o doziranju lijeka Glybera pogledajte sažetak opisa svojstava lijeka (također dio EPAR-a).

Tri dana prije početka terapije lijekom Glybera i dvanaest tjedana nakon terapije bolesnici primaju imunosupresivnu terapiju kako bi se smanjila reakcija imunosnog sustava tijela na lijek. Zbog potrebe za višestrukim injekcijama, savjetuje se davanje injekcija zajedno s anestezijom u kralježnicu ili lokalnom anestezijom (lijekovima koji otupljuju određene dijelove tijela kako bi se blokirala bol).

Kako djeluje Glybera?

Djelatna tvar lijeka Glybera, alipogen tiparvovek, dobiva se iz virusa koji je modificiran tako da može prenositi gen lipoproteinske lipaze u tjelesne stanice. Ako se ubrizgava u mišić, on otklanja deficijenciju lipoproteinske lipaze omogućujući mišićnim stanicama da proizvode enzim. Enzimi koje proizvedu te stanice mogu im pomoći pri razgradnji masnoća u krvi, smanjujući broj napadaja pankreatitisa i ozbiljnost bolesti.

Modificirani virusni materijal koji se koristi u lijeku Glybera ne uzrokuje infekcije i ne može stvarati vlastite kopije.

Kako je Glybera ispitivan?

Lijek Glybera ispitivan je u 27 bolesnika s deficijencijom lipoproteinske lipaze na prehrani s niskim sadržajem masnoća. Većina bolesnika koja je primila lijek Glybera primila je također imunosupresivnu terapiju. Glavno mjerilo djelotvornosti bilo je smanjenje koncentracije masnoće u krvi nakon obroka te smanjenje broja napadaja pankreatitisa.

Koje su koristi lijeka Glybera utvrđene u ispitivanjima?

Podaci su pokazali smanjenje koncentracije masnoće u krvi nakon obroka u pojedinim bolesnika. Bilo je prisutno i smanjenje broja napadaja pankreatitisa u pojedinim bolesnika kao i manji broj primitaka u bolnicu i boravaka na jedinicama intenzivne skrbi. Iako postoje podaci samo za mali broj bolesnika, rezultati pokazuju da je lijek Glybera od koristi za bolesnike s ozbiljnim ili višekratnim napadajima pankreatitisa.

Koji su rizici povezani s lijekom Glybera?

Najčešća nuspojava prijavljena pri primjeni lijeka Glybera bila je bol u nogama nakon injekcija, što je nastupilo u trećine bolesnika. Druge prijavljene česte nuspojave uključivale su glavobolju, umor, hipertermiju (visoku tjelesnu temperaturu), kontuzije (masnice) i povišene koncentracije enzima kreatin kinaze u krvi (mjerilo oštećenja mišićnog tkiva). Jednom bolesniku dijagnosticiran je pulmonalni embolizam (ugrušci u krvnim žilama koje opskrbljuju pluća) sedam tjedana nakon terapije. Uzimajući u obzir mali broj liječenih bolesnika, ove nuspojave ne pružaju potpunu sliku o učestalosti i prirodi nuspojave lijeka Glybera. Potpuni popis nuspojave zabilježenih pri primjeni lijeka Glybera potražite u uputi o lijeku.

Glybera se ne smije koristiti u bolesnika s imunodeficijencijom (oslabljenim imunitetom), povišenim rizikom od krvarenja i mišićnom bolesti. Antikoagulacijski lijekovi, koji mogu povećati krvarenje, ne smiju se koristiti tjedan dana prije primjene terapije lijekom Glybera do jednog dana nakon te terapije. Bolesnice ne smiju koristiti oralne kontraceptive. Potpuni popis ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Glybera odobren?

Nakon pažljivog razmatranja svih dokaza i okolnosti bolesti, uključujući i izuzetno rijetku pojavu bolesti, CHMP je zaključio da rezultati ispitivanja potvrđuju kako koristi lijeka Glybera nadmašuju s njim povezane rizike u bolesnika s ozbiljnim ili višestrukim napadajima pankreatitisa usprkos prehrani s niskim sadržajem masnoća. Ovo je podgrupa ozbiljno zahvaćenih bolesnika s visokom nezadovoljenom medicinskom potrebom. CHMP je stoga preporučio da se za lijek izda odobrenje za stavljanje u promet.

Lijek Glybera odobren je pod „iznimnim okolnostima“ budući da nije bilo moguće dobiti potpune informacije o lijeku uslijed rijetke prirode bolesti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove dostupne informacije te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Glybera?

Sukladno uvjetima pod kojima je izdano odobrenje, od tvrtke se traži da dostavi dodatne podatke o koncentracijama masnoće u krvi nakon obroka i o imunosnom odgovoru na lijek Glybera u novih bolesnika. Tvrtka će također dostaviti podatke iz registra kako bi se pratili rezultati u bolesnika liječenih lijekom Glybera, te će dodati korak u postupku proizvodnje lijeka kako bi se poboljšao sigurnosni profil.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Glybera?

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka Glybera. Na temelju tog plana, u sažetku opisa svojstava lijeka kao i u uputi o lijeku za lijek Glybera nalaze se sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju pridržavati.

Nadalje, tvrtka je uspostavila program ograničenog pristupa kako bi osigurala da se lijek Glybera koristi na primjeren način nakon što je dijagnoza potvrđena. Lijek će se isporučivati samo liječnicima koji su primili odgovarajuće edukacijske materijale te će se primjenjivati samo za liječenje bolesnika upisanih u registru. Tvrtka će također dostaviti bolesnicima i zdravstvenim djelatnicima edukacijske materijale, uključujući i informacije o načinu primjene lijeka Glybera, te načinu upravljanja rizicima pri primjeni lijeka. Bolesnici će također dobiti karticu s upozorenjima za bolesnike.

Ostale informacije o lijeku Glybera

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Glybera na snazi u Europskoj uniji od 25. listopada 2012.

Cjeloviti EPAR za lijek Glybera nalazi se na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Više informacija o terapiji lijekom Glybera pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Glybera dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Sažetak je posljednji put ažuriran u 10.2015.

Lijek koji više nije odobren