



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

### Glybera

#### alipogén tiparvovek

Ez a dokumentum a Glybera-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Glybera alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

#### Milyen típusú gyógyszer a Glybera?

A Glybera egy alipogén tiparvovek nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Oldatos injekció formájában kapható.

A Glybera a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „génterápiás gyógyszernek” neveznek. Ez a gyógyszertípus azáltal fejti ki hatását, hogy géneket juttat a szervezetbe.

#### Milyen betegségek esetén alkalmazható a Glybera?

A Glybera-t olyan, lipoproteinlipáz-hiányban szenvedő felnőtt betegek kezelésére alkalmazzák, akiknél a zsírszegény étrend ellenére súlyos fokú vagy többszöri pankreatitisz (hasnyálmirigy-gyulladás) roham lép fel.

A lipoproteinlipáz-hiány egy ritka betegség, amely esetén a betegek lipoproteinlipázt (a zsírok lebontásáért felelős enzimet) kódoló génje hibás. A betegségben szenvedő betegeknek szigorú zsírszegény étrendet kell tartaniuk, és hajlamosak a súlyos és életveszélyes szövődményt jelentő, ismétlődő hasnyálmirigy-gyulladás rohamokra.

A Glybera-t csak olyan betegek kaphatják, akiknek betegségét megfelelő genetikai vizsgálattal igazolták, és akiknek vérében kimutatható mértékben található meg a lipoproteinlipáz enzim.

Mivel a lipoproteinlipáz-hiányban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Glybera-t 2004. március 8-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A gyógyszer csak receptre kapható.



## Hogyan kell alkalmazni a Glybera-t?

A Glybera-kezelést csak olyan orvos rendelheti el, illetve az csak olyan orvos felügyelete alatt végezhető, aki jártas az lipoproteinlipáz-hiány kezelésében és a génterápiában.

A Glybera-t egyszeri kezelésként, az alsó végtag comb- és lábszárizmaiba adott több injekció formájában alkalmazzák. A beinjektálandó gyógyszer mennyisége és az injekciók száma a beteg testtömegétől függ. A Glybera beadandó dóziséra vonatkozó további információk a (szintén az EPAR részét képező) alkalmazási előírásban találhatóak.

A szervezet immunrendszere által a gyógyszerre adott reakció csökkentése céljából a Glybera-kezelés előtti harmadik naptól a beadás utáni tizenkét héten át immunszuppresszív kezelést kapnak a betegek. Mivel számos injekció beadására van szükség, ezért a beadás előtt ajánlatos gerincbe adott vagy helyi érzéstelenítőt (olyan gyógyszer, amely a fájdalom blokkolása céljából érzésteleníti a test bizonyos részeit) alkalmazni.

## Hogyan fejti ki hatását a Glybera?

A Glybera hatóanyaga, az alipogén tiparvovek, egy olyan vírustól származik, amely módosításának köszönhetően be tudja juttatni a szervezet sejtjeibe a lipoproteinlipáz gént. Az izomba injektálva képessé teszi az izomsejteket az enzim termelésére, és ily módon korrigálja a lipoproteinlipáz-hiányt. A sejtek által termelt enzim azután hozzájárul a vérben található zsírok lebontásához, és ezáltal csökkenti a pankreatitiszes rohamokat és a betegség súlyosságát.

A Glybera-ban használt módosított vírusanyag nem okoz fertőzést és nem képes szaporodni.

## Milyen módszerekkel vizsgálták a Glybera-t?

A Glybera-t 27, lipoproteinlipáz-hiányban szenvedő és alacsony zsírtartalmú étrendet tartó betegnél vizsgálták. A Glybera-val kezelt betegek többsége immunszuppresszív kezelést is kapott. A hatásosság fő mértéke az étkezés utáni vérszirsintek csökkenése és a pankreatitiszes rohamok számának csökkenése volt.

## Milyen előnyei voltak a Glybera alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az adatok azt mutatták, hogy egyes betegeknél csökkent az étkezés utáni vérszirsint. Egyes betegeknél a pankreatitiszes rohamok száma is csökkent, valamint kevesebb beteget vettek fel kórházba és a betegek kevesebb ideig tartózkodtak az intenzív osztályon. Bár az adatok kisszámú betegről származtak, az eredmények arra utalnak, hogy a Glybera előnnyel járna a súlyos fokú vagy többszöri pankreatitiszes rohamokat elszenvedő betegek számára.

## Milyen kockázatokkal jár a Glybera alkalmazása?

A Glybera leggyakoribb mellékhatása az injekciókat követő lábfájás volt, amely a betegek egyharmadánál fordult elő. A további gyakorimellékhatások közé tartozik a fejfájás, a fáradtság, a hipertermia (magas testhőmérséklet), a véraláfutás és a kreatin kináz enzim emelkedett szintje a vérben (izomszöveti károsodás mérőszáma). Egy betegnél tüdőembóliát (a tüdők vérellátását biztosító erekben képződő vérrögök) diagnosztizáltak a kezelés után hét héttel. Mivel csak kisszámú beteget kezeltek, a fenti esetek nem adnak teljes képet a Glybera mellékhatásainak gyakoriságáról és jellegéről. A Glybera alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegájékoztatóban található.

A Glybera nem alkalmazható immunhiányos (gyengült védekezőképességű) vagy izombetegségben szenvedő betegeknél, illetve fokozott vérzési kockázat esetén. A Glybera beadása előtt legalább egy hétig, illetve a Glybera beadása után egy napig nem alkalmazhatók véralvadást gátló gyógyszerek (ún. antikoagulánsok), amelyek növelhetik a vérzést. A betegek száján át szedhető fogamzásgátlókat sem szedhetnek. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## **Miért engedélyezték a Glybera forgalomba hozatalát?**

Az összes tudományos bizonyíték és a betegség körülményeinek (beleértve a betegség rendkívül ritka jellegét) gondos megfontolását követően a CHMP megállapította, hogy a vizsgálatok eredményei alapján az alacsony zsírtartalmú étrend alkalmazása ellenére súlyos fokú vagy többszöri pankreatitises rohamokat elszenvedő betegek esetében a Glybera előnyei meghaladják a kockázatokat. Ezek a betegek a súlyos állapotú betegek egyik alcsoportját képviselik, melynek gyógyszerigénye nagymértékben fedezetlen. A CHMP ezért a gyógyszer forgalomba hozatali engedélyének kiadását javasolta.

A Glybera forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték, mivel a gyógyszerről – a betegség alacsony előfordulási aránya miatt – nem lehetett teljes körű információt gyűjteni. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

## **Milyen információk várhatók még a Glybera-val kapcsolatban?**

A forgalomba hozatali engedély feltételeinek megfelelően a vállalatnak további adatokat kell benyújtani az étkezést követő vérzsírszintekre és a Glybera-t újonnan kapó betegek immunválaszára vonatkozóan. A vállalat továbbá a Glybera-val kezelt betegek eredményeit nyomon követő nyilvántartásból is szolgáltat adatokat, és beiktat egy további lépést a termék gyártása során a biztonságossági profil javítása érdekében.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Glybera biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Glybera lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Glybera-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

Ezen túlmenően, a vállalat korlátozott hozzáférési programot léptetett életbe annak biztosítására, hogy a diagnózis megerősítését követően a Glybera-t megfelelően alkalmazzák. A gyógyszer kizárólag olyan orvosoknak szállítható, akik megkapták a megfelelő oktatóanyagot, és kizárólag a nyilvántartásban szereplő betegek kezelésére alkalmazzák. A vállalat oktatóanyagot is fog biztosítani a betegek és az egészségügyi szakemberek számára, amely arra vonatkozóan is tartalmaz információt, hogy hogyan kell alkalmazni a Glybera-t, és hogyan kell kezelni a gyógyszerrel kapcsolatos kockázatokat. A betegek betegeknél szóló figyelmeztető kártyát is kapnak.

## **A Glybera-val kapcsolatos egyéb információ**

2012. október 25-én az Európai Bizottság a Glybera-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Glybera-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Glybera-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Glybera-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare%20disease%20designation).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 10-2015.

A gyógyszer forgalomba hozatali engedélye megszűnt