



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiamajam visuomeniui

Glybera

alipogeno tiparvovekas

Šis dokumentas yra Glybera Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Glybera rinkodaros leidimą ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

Kas yra Glybera?

Glybera – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos alipogeno tiparvoveko. Gaminamas šio vaisto injekcinis tirpalas.

Glybera yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis genų terapijos preparatas. Tai vaistai, pernešantys genus į organizmą.

Kam vartojamas Glybera?

Glybera gydomi suaugusieji, kuriems diagnozuotas lipoproteinlipazės nepakankamumas ir, nepaisant riebalų kiekio apribojimų mityboje, pasireiškia stiprūs arba pasikartojantys pankreatito (kasos uždegimo) priepuoliai.

Lipoproteinlipazės nepakankamumas yra reta liga, kuria pacientai serga dėl lipoproteinlipazės – fermento, kuris kontroliuoja riebalų skaidymą, – geno defekto. Šia liga sergantiems pacientams reikia laikytis griežtos neriebių maisto produktų dietos, ir jiems paprastai kartojasi pankreatito priepuoliai, t. y. sunki ir pavojų gyvybei kelianti komplikacija.

Glybera galima vartoti tik tiems pacientams, kurių liga patvirtinta atitinkamais genetiniais tyrimais ir kurių kraujyje aptinkama fermento lipoproteinlipazės.

Kadangi lipoproteinlipazės nepakankamumu sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta ir 2004 m. kovo 8 d. Glybera buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Kaip vartoti Glybera?

Glybera galima skirti ir švirkšti tik prižiūrint gydytojui, kuris turi lipoproteinlipazės nepakankamumo gydymo ir genų terapijos taikymo praktinės patirties.

Glybera gydomam pacientui atliekama viena procedūra, kurios metu į šlaunies ir blauzdos raumenis atliekama daug injekcijų. Vaisto kiekis ir injekcijų skaičius priklauso nuo paciento svorio. Daugiau informacijos apie reikiamą Glybera dozę rasite preparato charakteristikų santraukoje (taip pat EPAR dalis).

Tris dienas prieš taikant gydymą Glybera ir dvylika savaičių po gydymo, pacientams taikomas gydymas imunosupresantais, siekiant sumažinti organizmo imuninės sistemos reakciją į vaistą. Kadangi procedūros metu atliekama daug injekcijų, rekomenduojama pacientui taikyti spinalinę arba regioninę nejautrą (sušvirkšti vaistų, kuriais nujautrinamos tam tikros kūno dalys, kad pacientas nejautų skausmo).

Kaip veikia Glybera?

Veiklioji Glybera medžiaga alipogeno tiparvovekas išgaunamas iš viruso, kuris modifikuojamas taip, kad į paciento kūno ląsteles ši medžiaga galėtų pernešti lipoproteinlipazės geną. Sušvirkštas į raumenis, alipogeno tiparvovekas pašalina lipoproteinlipazės nepakankamumą, įgalindamas raumenų ląsteles gaminti šį fermentą. Šių ląstelių pagamintas fermentas padeda suskaidyti kraujyje esančius riebalus, todėl pankreatito priepuolių skaičius ir ligos sunkumas sumažėja.

Glybera sudėtyje naudojamos modifikuoto viruso dalelės nesukelia infekcijų ir negali daugintis.

Kaip buvo tiriamas Glybera?

Atliktas Glybera tyrimas su 27 pacientais, kuriems buvo diagnozuotas lipoproteinlipazės nepakankamumas ir kurie laikėsi neriebių maisto produktų dietos. Daugumai Glybera gydytų pacientų taip pat taikytas gydymas imunosupresantais. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo tai, kiek sumažėjo riebalų kiekis paciento kraujyje pavalgius ir pacientui pasireiškiančių pankreatito priepuolių skaičius.

Kokia Glybera nauda nustatyta tyrimuose?

Iš tyrimų duomenų matyti, kad kai kurių pacientų kraujyje riebalų kiekis pavalgius sumažėjo. Be to, kai kuriems pacientams sumažėjo pankreatito priepuolių skaičius, ir užregistruota mažiau hospitalizavimo bei gydymo intensyviosios terapijos skyriuose atvejų. Nors sukaupta duomenų tik apie nedidelę pacientų grupę, iš šių rezultatų matyti, kad Glybera būtų naudingas tiems pacientams, kuriems pasireiškia sunkūs arba pasikartojantys pankreatito priepuoliai.

Kokia rizika siejama su Glybera vartojimu?

Dažniausias šalutinis poveikis, apie kurį pranešta gydant Glybera, buvo kojų skausmas po injekcijų, kuris pasireiškė trečdaliui pacientų. Taip pat dažnai pasireiškė galvos skausmas, nuovargis, hipertermija (pakilusi kūno temperatūra), sumušimai (kraujosruvos) ir padidėjęs fermento kreatinino kinazės kiekis kraujyje (raumenų audinio pažeidimo rodiklis). Praėjus septynioms savaitėms po gydymo, vienam pacientui diagnozuota plaučių embolija (krešuliai kraujagyslėse, kuriomis krauju aprūpinami plaučiai). Atsižvelgiant į tai, kad Glybera gydyta nedaug pacientų, tai nėra išsamus Glybera

sukeliamų šalutinių reiškinių dažnio ir pobūdžio apibūdinimas. Išsamų visų šalutinių reiškinių, apie kuriuos pranešta gydant Glybera, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Glybera taip pat negalima vartoti pacientams, kurių imuninės sistemos veikla sutrikusi (imunitetas susilpnėjęs) ir kuriems iškilęs didesnis kraujavimo ir raumenų ligų pavojus. Antikoagulantų, kurie gali sustiprinti kraujavimą, negalima vartoti savaitę iki gydymo Glybera ir dieną po jo. Taip pat negalima vartoti geriamųjų kontraceptikų. Išsamų visų apribojimų sąrašą rasite pakuotės lapelyje.

Kodėl Glybera buvo patvirtintas?

Atidžiai apsvarstęs visus įrodymus ir su liga susijusias aplinkybes, įskaitant ypatingą jos retumą, CHMP priėjo prie išvados, jog tyrimų rezultatai patvirtino, kad Glybera nauda didesnė už jo keliamą riziką gydant pacientus, kuriems, nepaisant riebalų kiekio apribojimų mityboje, pasireiškia sunkūs arba pasikartojantys pankreatito priepuoliai. Tai yra sunkiai sergantys pacientai, kurių medicininiai poreikiai nepatenkinti. Todėl CHMP rekomendavo suteikti šio vaisto rinkodaros leidimą.

Glybera rinkodaros leidimas suteiktas „išimtinėmis sąlygomis“. Tai reiškia, kad dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Glybera. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Glybera?

Laikydamosi rinkodaros leidimo suteikimo sąlygų, bendrovė privalo pateikti tolesnius duomenis apie riebalų kiekį naujų pacientų kraujyje pavalgis ir jų imuninę reakciją į Glybera. Bendrovė taip pat pateiks registro duomenis, kad būtų galima stebėti Glybera gydytų pacientų būklę, ir įtrauks papildomą vaisto gamybos etapą, kad pagerėtų jo saugumo charakteristikos.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Glybera vartojimą?

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Glybera vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Glybera preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Be to, bendrovė įgyvendina apribotos prieigos programą, siekdama užtikrinti, kad Glybera būtų naudojamas tinkamai ir tik patvirtintus ligos diagnozę. Vaistas bus tiekiamas tik tiems gydytojams, kurie bus gavę atitinkamą šviečiamąją medžiagą, ir juo bus gydomi tik į registrą įtraukti pacientai. Be to, bendrovė aprūpins pacientus ir slaugytojus šviečiamąją medžiaga, kurioje bus pateikta informacija apie tai, kaip skirti Glybera ir kaip valdyti vaisto keliamus pavojus. Pacientams taip pat bus išduota įspėjamoji kortelė.

Kita informacija apie Glybera

Europos Komisija 2012 m. spalio 25 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Glybera rinkodaros leidimą.

Išsamų Glybera EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Daugiau informacijos apie gydymą Glybera rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Glybera santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2015–10.

Neberegistruotas vaistinis preparatas