



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

---

# Glybera

alipogene tiparvovec

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Glybera. Dan jispjega kif il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iwwaluta l-mediċina sabiex wasal għall-opinjoni favorevoli tiegħu li tingħata awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq u r-rakkomandazzjonijiet tiegħu dwar il-kondizzjonijiet ta' użu għal Glybera.

## X'inhu Glybera?

Glybera huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva alipogene tiparvovec. Jiġi bħala soluzzjoni għall-injezzjoni.

Glybera huwa tip ta' mediċina ta' terapija avvanzata msejha 'prodott ta' terapija tal-ġeni'. Din hija tip ta' mediċina li taħdem billi tittrasferixxi ġeni fil-ġisem.

## Għal xiex jintuża Glybera?

Glybera jintuża fil-kura tal-adulti b'defiċjenza ta' lipoproteina lipaži li jkollhom attakki severi jew multipli ta' pankreatite (infjammazzjoni tal-frixa) minkejja li joqogħdu fuq dieta b'ammont baxx ta' xaħam.

Id-defiċjenza tal-lipoproteina lipaži hija marda rari li fiha l-pazjenti jkollhom difett fil-ġene għal lipoproteina lipaži, enzim responsabbli mit-tkissir tax-xaħam. Il-pazjenti b'din il-marda jeħtieġu joqogħdu fuq dieta stretta b'ammont baxx ta' xaħam u jkunu suxxettibbli għal attakki rikorrenti ta' pankreatite, li hija kumulazzjoni severa u ta' theddida għall-ħajja.

Glybera jintuża biss għall-pazjenti li l-marda tagħhom tkun giet ikkonfermata permezz ta' ttestjar ġenetiku xieraq u li jkollhom livelli traċċabbli tal-enzim lipoproteina lipaži fid-demm tagħhom.

Minħabba li l-għadd ta' pazjenti b'defiċjenza ta' lipoproteina lipaži huwa żgħir, il-marda hija kkunsidrata 'rari', u Glybera kien ikklassifikat bħala 'mediċina orfni' (mediċina użata f'mard rari) fit-8 ta' Marzu 2004.



Il-medicina tista' tinkiseb biss b'ricetta ta' tabib.

## **Kif jintuza Glybera?**

Glybera għandu jingħata biss b'ricetta ta' tabib u taħt is-sorveljanza ta' tabib b'esperjenza fil-kura tad-defiċjenza ta' lipoproteina lipaži u fit-terapija tal-ġeni.

Glybera jingħata bħala kura singola li tinvolvi injezzjonijiet multipli fil-muskoli tan-naħa ta' fuq u ta' isfel tar-riglejn. L-ammont ta' medicina li għandu jiġi injettat u l-għadd ta' injezzjonijiet jiddependu mill-piż tal-pazjent. Għal aktar informazzjoni dwar id-doża ta' Glybera li għandha tingħata, ara s-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott (parti wkoll mill-EPAR).

Għal tlett ijiem qabel il-kura bi Glybera u għal tnax-il ġimgħa wara, il-pazjenti jingħataw kura immunosoppressiva sabiex tonqos ir-reazzjoni tas-sistema immunitarja tal-ġisem kontra l-medicina. Minhabba l-injezzjonijiet multipli meħtieġa, huwa rakkomandat li dawn jingħataw b'anestetiku spinali jew reġjonali (medicini li jraqqdu ċerti partijiet tal-ġisem biex ma jinħassx l-uġiġħ).

## **Kif jaħdem Glybera?**

Is-sustanza attiva fi Glybera, l-alipogene tiparvovec, tinkiseb minn virus li ġie mmodifikat sabiex ikun jista' jgħorr il-ġene ta' lipoproteina lipaži fiċ-ċelloli tal-ġisem. Meta tkun injettata fil-muskoli, hija tirranġa d-defiċjenza ta' lipoproteina lipaži billi tippermetti liċ-ċelloli tal-muskoli jipproduċu l-enzim. L-enzim prodott minn dawn iċ-ċelloli mbagħad jista' jgħin fit-tkissir tax-xaħmijiet fid-demm, b'hekk jitnaqqsu l-attakki ta' pankreatite u s-severità tal-marda.

Il-materjal virali modifikat użat fi Glybera ma jikkawżax infezzjonijiet u ma jistax jagħmel kopji tiegħu nnifsu.

## **Kif ġie studjat Glybera?**

Glybera ġie studjat f'27 pazjent b'defiċjenza ta' lipoproteina lipaži fuq dieta b'ammont baxx ta' xaħam. Il-parti l-kbira tal-pazjenti li rċevew Glybera ngħataw ukoll kura immunosoppressiva. Il-kejl ewlieni ta' effikaċja kien it-tnaqqis fil-livelli ta' xaħam fid-demm wara l-ikel u t-tnaqqis fin-numru ta' attakki ta' pankreatite.

## **Liema benefiċċju wera Glybera waqt l-istudji mwettqa?**

Id-data uriet tnaqqis fil-livelli tax-xaħam fid-demm wara l-ikel f'ċerti pazjenti. Kien hemm ukoll tnaqqis fil-għadd ta' attakki ta' pankreatite f'ċerti pazjenti, kif ukoll inqas ammissjonijiet l-isptar u rikoveri fit-taqsimiet tal-kura intensiva. Għalkemm kien hemm biss data għal numru żgħir ta' pazjenti, ir-riżultati jindikaw li Glybera ikun ta' benefiċċju għal dawk il-pazjenti b'attakki severi jew multipli ta' pankreatite.

## **X'inhu r-riskju assoċjat ma' Glybera?**

L-effett sekondarju l-aktar komuni rrapportat bi Glybera kien l-uġiġħ fir-riglejn wara l-injezzjonijiet, li seħħ f'terz tal-pazjenti. Effetti sekondarji komuni oħrajn inkludew uġiġħ ta' ras, għejja, ipertermija (temperatura għolja tal-ġisem), kontużjoni (tbengil) u livelli ogħla tal-enzim kreatina kinaži fid-demm (kejl ta' ħsara fit-tessut tal-muskolu). Pazjent minnhom ġie ddiġanjostikat b'emboliżmu pulmonari (emboli fil-vażijiet li jfornu lill-pulmoni) seba' ġimgħat wara l-kura. Minhabba l-għadd żgħir ta' pazjenti kkurati, dawn l-effetti sekondarji ma jipprovdwx stampa sħiħa tal-frekwenza u t-tip ta' effetti

sekondarji ta' Glybera. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportata bi Glybera, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Glybera m'għandux jintuża f'pazjenti b'immunodeficienza (immunità dgħajfa), b'riskju akbar ta' fsada u mard tal-muskoli. Il-medicini kontra l-koagulazzjoni, li jistgħu jzidu l-fsada, m'għandhomx jintużaw mill-ġimgħa ta' qabel il-kura bi Glybera sa jum wara. Il-pazjenti lanqas ma għandhom jieħdu kontraċettivi orali. Għal-lista sħiħa ta' restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex ġie approvat Glybera?**

Wara konsiderazzjoni bir-reqqa tal-evidenza kollha u ċ-ċirkostanzi tal-marda, inkluża r-rarità estrema tagħha, is-CHMP ikkonkluda li r-riżultati mill-istudji wrew li l-benefiċċji ta' Glybera huma akbar mir-riskji tiegħu f'pazjenti b'attakki severi jew multipli ta' pankreatite minkejja li jsegwu dieta b'ammont baxx ta' xaħam. Dan huwa sottogrupp ta' pazjenti milquta serjament bi hteġa medika kbira mhux issodisfata. Is-CHMP għaldaqstant irrakkomanda li l-medicina tingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Glybera ġie awtorizzat taħt 'ċirkostanzi ta' eċċezzjoni' għax ma kienx possibbli li tingħabar l-informazzjoni kollha dwar il-medicina, minħabba r-rarità tal-marda. Kull seña, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini se tirrevedi kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u dan is-sommarju jiġi aġġornat kif meħtieġ.

## **Liema informazzjoni għadha mistennija għal Glybera?**

Skont it-termini tal-awtorizzazzjoni, il-kumpanija hija meħtieġa li tipprovdi aktar data dwar il-livelli tax-xaħam fid-demem wara l-ikel u dwar ir-reazzjoni immunitarja għal Glybera f'pazjenti ġodda. Il-kumpanija se tipprovdi wkoll data minn registru biex tissorvelja l-eżitu tal-pazjenti kkurati b'Glybera, u se żżid pass ieħor mal-manifattura tal-prodott sabiex ittejjeb il-profil tas-sigurtà.

## **X'miżuri qed jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effikaċi ta' Glybera?**

Ġie żviluppat pjan ta' ġestjoni tar-riskju biex jiġi żgurat li Glybera jintuża bl-aktar mod sigur possibbli. Abbażi ta' dan il-pjan, fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u l-fuljett ta' tagħrif ġiet inkluża informazzjoni rigward is-sigurtà ta' Glybera, inklużi l-prekawzjonijiet xierqa li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti tal-kura tas-saħħa u l-pazjenti.

Barra minn hekk, il-kumpanija stabbilixxiet programm ta' aċċess ristrett sabiex tiżgura li Glybera jintuża b'mod xieraq meta d-dijanjosi tkun ikkonfermata. Il-medicina se tiġi pprovduta biss lil tobba li jkun rċevew il-materjal edukattiv xieraq u tintuża biss għall-kura ta' pazjenti li jippartecipaw fir-registru. Il-kumpanija se tipprovdi wkoll lill-pazjenti u lill-professjonisti fil-kura tas-saħħa materjal edukattiv, inkluż informazzjoni dwar kif għandu jingħata Glybera u kif għandhom jiġu mmaniġġjati r-riskji bil-medicina. Il-pazjenti se jiġu pprovduti wkoll b'kard tat-twissija tal-pazjent.

## **Aktar tagħrif dwar Glybera**

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Glybera fil-25 ta' Ottubru 2012.

L-EPAR sħiħ għal Glybera jinstab fis-sit web tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura bi Glybera, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Glybera jista' jinstab fis-sit web tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar f'10-2015.

Prodott mediċinali li m'għadux awtorizzati