



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Glybera

alipogenu typarwówek

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Glybera. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił przeprowadzone badania w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Glybera do obrotu, oraz zaleceń w sprawie stosowania leku.

Co to jest Glybera?

Glybera to lek zawierający substancję czynną alipogenu typarwówek. Lek jest dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań.

Glybera jest rodzajem leku do leczenia zaawansowanego, zwanym „produktem terapii genowej”. Jest to rodzaj leku, który działa poprzez dostarczanie genów do organizmu.

W jakim celu stosuje się produkt Glybera?

Lek Glybera stosuje się w leczeniu dorosłych pacjentów z rozpoznaniem niedoboru lipazy lipoproteinowej cierpiących z powodu ciężkich lub wielokrotnych napadów zapalenia trzustki, pomimo stosowania diety z ograniczeniem tłuszczów.

Niedobór lipazy lipoproteinowej jest to rzadka choroba, w której z powodu defektu genu lipazy lipoproteinowej brakuje enzymu odpowiedzialnego za rozkładanie tłuszczów. Pacjenci cierpiący na tę chorobę muszą ściśle przestrzegać diety niskotłuszczowej i stwierdza się u nich skłonność do występowania nawracających napadów zapalenia trzustki stanowiących ciężkie i groźne dla życia powikłanie.

Lek Glybera przeznaczony jest wyłącznie dla pacjentów, u których rozpoznanie choroby potwierdzono w teście genetycznym i u których stężenie enzymu lipazy lipoproteinowej we krwi jest wykrywalne.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z niedoborem lipazy lipoproteinowej, choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 8 marca 2004 r. produkt Glybera uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

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



Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak stosować produkt Glybera?

Lek Glybera powinien być przepisywany i podawany wyłącznie pod ścisłym nadzorem lekarza specjalizującego się w leczeniu niedoboru lipazy lipoproteinowej oraz w terapii genowej.

Lek Glybera podaje się w jednorazowej sesji, podczas której wykonywane są liczne wstrzyknięcia w mięśnie ud i podudzi obu nóg. Dawka leku podawanego we wstrzyknięciach oraz liczba wstrzyknięć zależy od masy ciała pacjenta. Szczegółowe informacje dotyczące dawki leku Glybera, jaka ma być podana, znajdują się w Charakterystyce Produktu Leczniczego (także stanowiącej część EPAR).

Przez trzy dni przed zastosowaniem leku Glybera, a także dwanaście tygodni po leczeniu, pacjentom podaje się leki immunosupresyjne w celu złagodzenia reakcji układu odpornościowego na produkt. Z uwagi na dużą liczbę wstrzyknięć zaleca się wykonanie znieczulenia rdzeniowego lub regionalnego (przewodowego) (podanie leków powodujących uśmierzenie bólu poprzez zniesienie czucia w pewnych częściach ciała).

Jak działa produkt Glybera?

Substancja czynna leku Glybera, alipogenu typarwówek, otrzymywana jest z wirusa zmodyfikowanego w taki sposób, by przenosił gen lipazy lipoproteinowej do komórek organizmu. Po wstrzyknięciu do mięśni substancja ta wyrównuje niedobór lipazy lipoproteinowej, umożliwiając wytwarzanie enzymu w komórkach mięśni. Enzym wytwarzany w tych komórkach może uczestniczyć w procesach rozkładania tłuszczów we krwi i pomaga zmniejszyć liczbę napadów zapalenia trzustki oraz nasilenie choroby.

Zmodyfikowany materiał wirusowy wykorzystany w produkcie Glybera nie wywołuje zakażeń i nie może się replikować.

Jak badano produkt Glybera?

Działanie leku Glybera zbadano u 27 pacjentów z niedoborem lipazy lipoproteinowej stosujących dietę niskotłuszczową. Większość pacjentów otrzymujących lek Glybera przyjmowała także leki immunosupresyjne. Głównym kryterium oceny skuteczności było obniżenie stężenia tłuszczów we krwi po posiłkach oraz zmniejszenie liczby napadów zapalenia trzustki.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Glybera zaobserwowano w badaniach?

U niektórych pacjentów wykazano obniżenie stężenia tłuszczów we krwi po posiłkach. Odnotowano również zmniejszenie liczby napadów zapalenia trzustki u niektórych pacjentów, a także liczby hospitalizacji i pobyków w oddziałach intensywnej opieki medycznej. Chociaż dane pochodziły od niewielkiej liczby pacjentów, uzyskane wyniki wskazują na potencjalne korzystne działanie leku Glybera u osób z ciężkimi lub wielokrotnie nawracającymi napadami zapalenia trzustki.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Glybera?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Glybera to bóle nóg po wstrzyknięciach występujące u jednej trzeciej pacjentów. Inne często zgłaszane działania niepożądane to: bóle głowy, zmęczenie, hipertermia (wysoka temperatura ciała), siniaki (podbiegnięcia krwawe) oraz podwyższony poziom enzymu kinazy kreatynowej we krwi (miernik uszkodzenia tkanki

mięśniowej). U jednego pacjenta rozpoznano zatorowość płucną (obecność skrzeplin w naczyniach krwionośnych zaopatrujących płuca) siedem tygodni po leczeniu. Ze względu na małą liczbę leczonych pacjentów nie jest to pełny obraz częstości występowania i charakteru działań niepożądanych produktu Glybera. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Glybera znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Glybera nie wolno stosować u pacjentów, u których stwierdza się niedobory odporności (osłabienie odporności), zwiększenie ryzyka krwawień i choroby mięśni. Leków przeciwzakrzepowych mogących nasilać krwawienia nie wolno podawać w tygodniu poprzedzającym leczenie produktem Glybera, w okresie leczenia i w dzień po jego zakończeniu. Pacjentki nie mogą również przyjmować doustnych środków antykoncepcyjnych. Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt Glybera?

Po starannym rozpatrzeniu wszystkich dowodów oraz okoliczności związanych z chorobą, z uwzględnieniem wyjątkowo rzadkiego jej występowania, CHMP uznał, że na podstawie wyników badań wykazano, iż korzyści płynące ze stosowania produktu Glybera przewyższają ryzyko u pacjentów cierpiących z powodu ciężkich lub wielokrotnych napadów zapalenia trzustki, pomimo stosowania diety niskotłuszczowej. Jest to podgrupa osób ciężko chorych, których potrzeby są w wysokim stopniu niezaspokojone. Dlatego CHMP zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie leku do obrotu.

Lek Glybera dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, ponieważ ze względu na rzadkie występowanie choroby nie można było uzyskać pełnych informacji o leku. Europejska Agencja Leków dokona co roku przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze streszczenie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Glybera?

Zgodnie z warunkami określonymi w pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu firma musi dostarczyć dodatkowe dane dotyczące stężeń tłuszczów we krwi po posiłkach oraz odpowiedzi immunologicznej na produkt Glybera u nowych pacjentów. Firma przedstawi także dane z rejestru, aby monitorować skutki leczenia u pacjentów stosujących produkt Glybera, i doda etap w procesie wytwarzania produktu w celu poprawy jego profilu bezpieczeństwa.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Glybera?

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu Glybera opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu Glybera zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Ponadto firma wdrożyła program ograniczonego dostępu, żeby zapewnić właściwe zastosowanie produktu Glybera po potwierdzeniu rozpoznania choroby. Lek będzie dostarczany wyłącznie lekarzom, którzy otrzymali odpowiednie materiały szkoleniowe, i stosowany wyłącznie u pacjentów wprowadzonych do rejestru. Firma dostarczy pacjentom i personelowi medycznemu materiały edukacyjne, w tym zawierające informacje na temat sposobu podawania leku Glybera oraz kontrolowania ryzyka związanego ze stosowaniem leku. Pacjenci otrzymają również kartę ostrzeżeń dla pacjenta.

Inne informacje dotyczące produktu Glybera:

W dniu 25 października 2012 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Glybera do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Glybera znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Glybera należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Glybera znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Data ostatniej aktualizacji: 10.2015.

Produkt leczniczy bez ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu