



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR pentru public

Glybera

alipogen tiparovec

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Glybera. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Glybera.

Ce este Glybera?

Glybera este un medicament care conține substanța activă alipogen tiparovec. Este disponibil sub formă de soluție injectabilă.

Glybera este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „produs pentru terapie genică”. Acesta este un tip de medicament care acționează prin eliberarea de gene în organism.

Pentru ce se utilizează Glybera?

Glybera se utilizează pentru tratamentul pacienților adulți diagnosticați cu deficit de lipoproteinlipază și care suferă de episoade severe sau repetate de pancreatită (inflamația pancreasului), în pofida respectării unui regim alimentar hipolipidic.

Deficitul de lipoproteinlipază este o boală rară, în care pacienții au un defect al genei lipoproteinlipazei, o enzimă responsabilă de descompunere a grăsimilor. Pacienții cu această boală trebuie să urmeze un regim alimentar hipolipidic strict, fiind predispuși la episoade repetate de pancreatită, care este o complicație gravă, potențial fatală.

Glybera se utilizează numai la pacienții la care boala a fost confirmată printr-un test genetic adecvat și care prezintă valori detectabile ale enzimei lipoproteinlipază în sânge.

Din cauza numărului mic de pacienți cu deficit de lipoproteinlipază, aceasta este considerată o boală „rară”, iar Glybera a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 8 martie 2004.



Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Glybera?

Glybera trebuie prescris și administrat numai sub supravegherea unui medic cu experiență în tratamentul pacienților cu deficit de lipoproteinlipază și în administrarea terapiei genice.

Glybera se administrează într-o ședință unică de tratament, implicând o serie de injecții în mușchii de la nivelul părților superioare și inferioare ale picioarelor. Doza de medicament care trebuie injectată și numărul de injecții depind de greutatea pacientului. Pentru mai multe informații privind doza de Glybera care trebuie administrată, consultați Rezumatul caracteristicilor produsului (care face parte, de asemenea, din EPAR).

Cu trei zile înaintea tratamentului cu Glybera și timp de douăsprezece săptămâni după aceea, pacienților li se administrează un tratament imunosupresor pentru a reduce reacția sistemului imunitar al organismului la medicament. Din cauza numărului mare de injecții necesare, se recomandă rahianestezie sau anestezie locoregională (cu medicamente care amorteșc anumite părți ale corpului, pentru a bloca durerea).

Cum acționează Glybera?

Substanța activă din Glybera, alipogen tiparvovec, este derivată dintr-un virus care a fost modificat pentru a putea transporta gena lipoproteinlipază în celulele organismului. Când este injectată în mușchi, substanța activă corectează deficitul de lipoproteinlipază, determinând celulele musculare să producă enzima. Enzima produsă de aceste celule poate să faciliteze ulterior descompunerea grăsimilor din sânge, reducând numărul de episoade de pancreatită și severitatea bolii.

Organismele modificate genetic utilizate în Glybera nu produc infecții și nu se pot multiplica.

Cum a fost studiat Glybera?

Glybera a fost studiat pe 27 de pacienți cu deficit de lipoproteinlipază care urmau un regim alimentar hipolipidic. La majoritatea pacienților care au primit Glybera, s-a administrat și un tratament imunosupresor. Principalii indicatori ai eficacității au fost reducerea valorilor lipidelor din sânge după mese și scăderea numărului de episoade de pancreatită.

Ce beneficii a prezentat Glybera pe parcursul studiilor?

Datele au indicat la unii pacienți o reducere a valorilor lipidelor în sânge după mese. De asemenea, a fost înregistrată o scădere a numărului de episoade de pancreatită la unii pacienți, precum și o reducere a internărilor și a perioadelor de spitalizare în unități de terapie intensivă. Cu toate că datele au provenit doar de la un număr mic de pacienți, rezultatele indică faptul că Glybera ar prezenta beneficii pentru pacienții cu episoade severe sau repetate de pancreatită.

Care sunt riscurile asociate cu Glybera?

Cel mai frecvent efect secundar raportat asociat cu Glybera a fost durerea la nivelul picioarelor în urma injecțiilor, care a survenit la o treime din pacienți. Alte efecte secundare frecvente sunt dureri de cap, oboseală, hipertermie (temperatură corporală mare), contuzii (vânătași) și niveluri mari ale enzimei creatinkinază în sânge (un indicator al deteriorării țesutului muscular). Un pacient a fost diagnosticat cu embolie pulmonară (cheaguri în vasele de sânge care alimentează plămânii) la șapte săptămâni

după tratament. Dat fiind numărul mic de pacienți tratați, aceste date nu oferă o imagine completă a frecvenței și naturii efectelor secundare asociate cu Glybera. Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Glybera, consultați prospectul.

Glybera este contraindicat la pacienții cu imunodeficiență (imunitate slăbită), cu risc crescut de hemoragie și afecțiuni musculare. Cu o săptămână înainte de tratamentul cu Glybera și la o zi după aceea este contraindicată administrarea de medicamente anticoagulante, care pot mări riscul de hemoragie. Sunt contraindicate contraceptivele orale. Pentru lista completă de restricții, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat Glybera?

După evaluarea atentă a tuturor dovezilor și condițiilor bolii, inclusiv din cauza apariției extrem de rare a acesteia, CHMP a concluzionat că rezultatele studiilor au indicat că beneficiile Glybera sunt mai mari decât riscurile asociate la pacienții care suferă de episoade severe sau repetate de pancreatită în pofida respectării unui regim alimentar hipolipidic. Aceștia reprezintă un subgrup de pacienți cu afecțiuni severe cu necesități mari de îngrijiri medicale nesatisfăcute. Prin urmare, CHMP a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest medicament.

Glybera a fost autorizat în „condiții excepționale”, întrucât, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre acest medicament. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Glybera?

Pentru respectarea condițiilor autorizației de introducere pe piață, companiei i se solicită furnizarea de date suplimentare privind valorile lipidelor în sânge după mese și răspunsul sistemului imunitar la administrarea Glybera la pacienții noi. Compania va furniza, de asemenea, date dintr-un registru pentru a urmări rezultatul pacienților tratați cu Glybera și va adăuga o etapă la fabricarea produsului pentru a-i îmbunătăți profilul de siguranță.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Glybera?

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Glybera să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Glybera, au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

În plus, compania a implementat un program cu acces limitat pentru a se asigura că Glybera se utilizează adecvat atunci când diagnosticul este confirmat. Medicamentul va fi furnizat numai medicilor care au primit materialele educaționale corespunzătoare și va fi utilizat numai pentru tratarea pacienților înregistrați în registru. De asemenea, compania va furniza pacienților și personalului medical materiale educaționale cu informații despre modul de administrare a Glybera și modul de gestionare a riscurilor asociate cu medicamentul. Pacienților li se va furniza și un card de avertizare pentru pacienți.

Alte informații despre Glybera

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Glybera, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 25 octombrie 2012.

EPAR-ul complet pentru Glybera este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Glybera, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru produse medicamentose orfane pentru Glybera este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 10-2015.

Medicamentul nu mai este autorizat