



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Súhrn správy EPAR pre verejnosť

---

### Glybera

alipogén tiparvovek

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Glybera. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a došiel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Glybera.

#### Čo je liek Glybera?

Glybera je liek, ktorý obsahuje účinnú látku alipogén tiparvovek. Je dostupný vo forme injekčného roztoku.

Glybera je druh lieku na inovatívnu liečbu a označuje sa ako tzv. liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tak, že telu dodáva gény.

#### Na čo sa liek Glybera používa?

Liek Glybera sa používa na liečbu dospelých s deficitom lipoproteínovej lipázy a so závažnými alebo viacnásobnými epizódami pankreatitídy (zápal pankreasu), napriek strave s nízkym obsahom tuku.

Deficit lipoproteínovej lipázy je zriedkavé ochorenie, pri ktorom pacientom v dôsledku genetickej poruchy chýba v tele gén lipoproteínovej lipázy, teda enzým zodpovedný za odbúravanie tukov. Pacienti s týmto ochorením musia dodržiavať prísnu diétu s nízkym obsahom tuku a sú náchylní na opakované epizódy pankreatitídy, čo je závažná komplikácia, ktorá môže viesť k ohrozeniu života.

Liek Glybera je určený iba pre tých pacientov, ktorých ochorenie sa potvrdilo primeraným genetickým testovaním a ktorí majú v krvi zistiteľnú hladinu enzýmu lipoproteínovej lipázy.

Keďže je počet pacientov s deficitom lipoproteínovej lipázy nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Glybera 8. marca 2004 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek používaný pri zriedkavých chorobách).

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.



## Ako sa liek Glybera používa?

Liek Glybera sa má predpisovať a podávať len pod dohľadom lekára so skúsenosťami s liečbou deficitu lipoproteínovej lipázy a podávaním génovej terapie.

Liek Glybera sa podáva ako samostatná liečba zahŕňajúca viaceré injekcie, ktoré sa podávajú do svalov v hornej i dolnej časti nôh. Množstvo podávaného lieku a počet injekcií závisí od hmotnosti pacienta. Ďalšie informácie o dávkach lieku Glybera, ktoré sa majú podávať, sa nachádzajú v súhrne charakteristických vlastností lieku (súčasť správy EPAR).

Tri dni pred podaním lieku Glybera a dvanásť týždňov po ňom dostávajú pacienti imunosupresívnu liečbu na zníženie reakcie imunitného systému tela proti lieku. Vzhľadom na počet potrebných injekcií sa odporúča podávať ho so spinálnou alebo regionálnou anestéziou (s liekmi, ktoré znecitlivejú určité časti tela, aby zablokovali bolesť).

## Akým spôsobom liek Glybera účinkuje?

Účinná látka lieku Glybera, alipogén tiparvovek, pochádza z vírusu, ktorý bol upravený tak, aby prenášal gén lipoproteínovej lipázy do buniek v tele. Pri podaní do svalov upravuje nedostatok lipoproteínovej lipázy tým, že svalovým bunkám umožňuje produkovať enzým. Enzým, ktorý produkujú tieto bunky, môže pomôcť odbúravať tuky v krvi, čím sa zníži počet epizód pankreatitídy a závažnosť tohto ochorenia.

Vírusový materiál použitý v lieku Glybera bol upravený tak, aby nespôsobil infekcie a nevytváral vlastné kópie.

## Ako bol liek Glybera skúmaný?

Liek Glybera bol skúmaný u 27 pacientov s deficitom lipoproteínovej lipázy, ktorí jedli stravu s nízkym obsahom tukov. Väčšina pacientov, ktorým sa podával liek Glybera, dostávali aj imunosupresívnu liečbu. Hlavným meradlom účinnosti bolo zníženie hladiny tuku v krvi po jedle a zníženie počtu epizód pankreatitídy.

## Aký prínos preukázal liek Glybera v týchto štúdiách?

Údaje poukázali na zníženie hladiny tuku v krvi po jedle u niektorých pacientov. U niektorých pacientov došlo aj k zníženiu počtu epizód pankreatitídy, ako aj k menšiemu počtu hospitalizácií a pobytov na jednotke intenzívnej starostlivosti. Aj keď išlo o údaje iba malého počtu pacientov, výsledky naznačujú, že liek Glybera bude prínosom pre pacientov so závažnými alebo viacnásobnými epizódami pankreatitídy.

## Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Glybera?

Najčastejšie pozorovaným vedľajším účinkom lieku Glybera je bolesť nôh po podaní injekcií, ktorá sa vyskytla u tretiny pacientov. Ďalšími často pozorovanými vedľajšími účinkami sú bolesť hlavy, únava, hypertermia (vysoká telesná teplota), kontúzia (tvorba modrín) a zvýšené hladiny enzýmu nazývaného kreatínkináza v krvi (miera poškodenia svalového tkaniva). Jeden pacient bol diagnostikovaný s pľúcnou embóliou (zrazeniny v krvných cievach zásobujúcich pľúca) sedem týždňov po liečbe. Vzhľadom na malý počet liečených pacientov tieto vedľajšie účinky neposkytujú úplný obraz o frekvencii a povahe vedľajších účinkov lieku Glybera. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Glybera sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Glybera sa nesmie používať u pacientov s imunodeficienciou (oslabenou imunitou), so zvýšeným rizikom krvácania a ochorením svalov. Antikoagulanciá, ktoré môžu zvýšiť krvácanie, sa nesmú používať týždeň pred liečbou liekom Glybera a jeden deň po nej. Pacienti nesmú užívať ani perorálnu antikoncepciu. Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol liek Glybera povolený?**

Po dôkladnom zvážení všetkých dôkazov a okolností ochorenia vrátane jeho mimoriadnej zriedkavosti výbor CHMP dospel k záveru, že výsledky štúdií preukázali, že prínosy lieku Glybera prevažujú nad jeho rizikami u pacientov so závažnými alebo viacnásobnými epizódami pankreatitídy, aj napriek dodržiavaniu diéty s nízkym obsahom tukov. Ide o podskupinu vážne postihnutých pacientov, ktorí veľmi potrebujú liečbu. Výbor CHMP preto odporučil vydať povolenie na uvedenie lieku na trh.

Liek Glybera bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

## **Aké informácie o lieku Glybera dosiaľ neboli predložené?**

Podľa podmienok povolenia je spoločnosť povinná poskytnúť ďalšie údaje o hladine tuku v krvi po jedle a o imunitnej odpovedi nových pacientov na liek Glybera. Spoločnosť predloží aj údaje z registra na monitorovanie výsledku u pacientov liečených liekom Glybera a za účelom zlepšenia bezpečnostného profilu lieku doplní jeho výrobný proces o ďalší krok.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Glybera?**

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Glybera bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti o lieku Glybera vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Spoločnosť navyše zaviedla program obmedzeného prístupu, ktorým zabezpečí, aby sa liek Glybera po potvrdení diagnózy podával náležitým spôsobom. Tento liek sa bude dodávať iba lekárom, ktorí dostali príslušné vzdelávacie materiály a bude sa používať len na liečbu pacientov zaradených do registra. Spoločnosť takisto poskytne pacientom a zdravotníckym pracovníkom vzdelávacie materiály vrátane informácií o spôsobe podávania lieku Glybera, ako aj riadenia súvisiacich rizík. Pacientom sa poskytne aj pohotovostná karta pacienta.

## **Ďalšie informácie o lieku Glybera**

Dňa 25. októbra 2012 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Glybera na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Glybera sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Glybera, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Glybera sa nachádza na webovej stránke agentúry EMA: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 10-2015