



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Glybera

alipogentiparvovek

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Glybera. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo Glybera?

Glybera je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino alipogentiparvovek. Na voljo je v obliki raztopine za injiciranje.

Zdravilo Glybera spada v skupino zdravil za napredno zdravljenje, ki se imenujejo „zdravila za gensko zdravljenje“. Gre za skupino zdravil, ki delujejo tako, da prenesejo gene v telo.

Za kaj se zdravilo Glybera uporablja?

Zdravilo Glybera se uporablja za zdravljenje odraslih bolnikov z diagnozo pomanjkanja lipoproteinske lipaze, ki imajo hude ali multiple napade pankreatitisa (vnetja trebušne slinavke) kljub omejevanju vnosa maščobe s hrano.

Pomanjkanje lipoproteinske lipaze je redka bolezen, pri kateri imajo bolniki okvaro gena za lipoproteinsko lipazo, tj. encima, katerega naloga je razgradnja maščob. Bolniki s to boleznijo morajo imeti strogo dieto z majhnim vnosom maščob in so nagnjeni k ponavljajočim se napadom pankreatitisa, ki je resen in smrtno nevaren zaplet.

Zdravilo Glybera je namenjeno le tistim bolnikom, pri katerih je bila bolezen potrjena z ustreznimi genskimi preiskavami in ki imajo določljive ravni encima lipoproteinske lipaze v krvi.

Ker je število bolnikov s pomanjkanjem lipoproteinske lipaze malo, velja ta bolezen za „redko“, zato je bilo zdravilo Glybera 8. marca 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Izdaja zdravila je le na recept.



Kako se zdravilo Glybera uporablja?

Zdravilo Glybera je treba predpisati in uporabljati le pod nadzorom zdravnika, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov s pomanjkanjem lipoproteinske lipaze in uporabo genske terapije.

Zdravilo Glybera se daje kot enkratno zdravljenje, ki vključuje več injekcij v mišice zgornjega in spodnjega dela nog. Količina zdravila, ki ga je treba injicirati, in število injekcij sta odvisna od bolnikove telesne mase. Za več informacij o odmerku zdravila Glybera, ki ga je treba dati bolniku, glejte povzetek glavnih značilnosti zdravila (ki je prav tako del EPAR).

Tri dni pred zdravljenjem z zdravilom Glybera in dvanajst tednov po njem je treba bolnikom dajati imunosupresivno terapijo, ki zmanjša reakcijo imunskega sistema telesa na zdravilo. Zaradi velikega števila injiciranj se priporoča spinalna ali lokalna anestezija (zdravila, ki omrtvičijo določene dele telesa in tako ustavijo bolečino).

Kako zdravilo Glybera deluje?

Zdravilno učinkovino v zdravilu Glybera, alipogentiparvovek, pridobivajo iz virusa, ki ga spremenijo tako, da lahko prenaša gen za lipoproteinsko lipazo v telesne celice. Ko gen injicirajo v mišice, popravi pomanjkanje lipoproteinske lipaze tako, da mišičnim celicam omogoča tvorbo tega encima. Encim, ki ga te celice izdelajo, lahko nato pomaga razgrajevati maščobe v krvi, s čimer zmanjšuje število napadov pankreatitisa in resnost bolezni.

Prilagojeni virusni material, ki ga uporabljajo za zdravilo Glybera, ne povzroča okužb in se ne morejo podvajati.

Kako je bilo zdravilo Glybera raziskano?

Zdravilo Glybera so proučevali pri 27 bolnikih s pomanjkanjem lipoproteinske lipaze, ki so imeli dieto z majhnim vnosom maščobe. Večina bolnikov, ki so prejeli zdravilo Glybera, je prejela tudi imunosupresivno terapijo. Glavni merili učinkovitosti sta bili znižanje ravni maščob v krvi po jedi in zmanjšanje števila napadov pankreatitisa.

Kakšne koristi je zdravilo Glybera izkazalo med študijami?

Podatki so pri nekaterih bolnikih pokazali znižanje ravni maščob v krvi po jedi. Pri nekaterih je prišlo tudi do zmanjšanja števila napadov pankreatitisa ter zmanjšanja števila sprejemov v bolnišnico in obravnava na oddelkih za intenzivno nego. Čeprav so bili na voljo le podatki za manjše število bolnikov, rezultati kažejo, da bi zdravilo Glybera lahko pomagalo bolnikom z resnimi ali multiplimi napadi pankreatitisa.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Glybera?

Najpogostejši neželeni učinek, o katerem so poročali pri uporabi zdravila Glybera, je bila bolečina v nogah po injiciranju, ki se je pojavila pri tretjini bolnikov. Drugi pogosti neželeni učinki, o katerih so poročali, so glavobol, utrujenost, hipertermija (povišana telesna temperatura), kontuzija (podplutbe) in povišane ravni encima kreatin kinaze v krvi (merilo okvare mišičnih vlaken). Pri enem bolniku so sedem tednov po zdravljenju postavili diagnozo pljučne embolije (strdkov v krvnih žilah, ki oskrbujejo pljuča s krvjo). Glede na majhno število zdravljenih bolnikov, ti podatki ne omogočajo celovite slike pogostnosti in narave neželenih učinkov zdravila Glybera. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Gilenya, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Glybera ne smejo uporabljati bolniki z imunsko pomanjkljivostjo (oslabljenim imunskim sistemom), povečanim tveganjem za krvavitve in mišičnim obolenjem. Zdravila za preprečevanje strjevanja krvi, ki lahko povečajo krvavitev, se ne smejo uporabljati vsaj teden dni pred zdravljenjem z zdravilom Glybera in še dan po njem. Bolniki prav tako ne smejo uporabljati peroralnih kontracepcijskih sredstev. Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Glybera odobreno?

Po skrbni proučitvi vseh dokazov in okoliščin bolezni, vključno z njeno izjemno redkostjo, je odbor CHMP zaključil, da so rezultati študij pokazali, da so koristi zdravila Glybera večje od z njim povezanih tveganj pri bolnikih z resnimi ali multiplimi napadi pankreatitisa kljub dieti z majhnim vnosom maščob. Gre za podskupino resno prizadetih bolnikov, pri katerih obstaja velika potreba po zdravljenju. Odbor je zato priporočil, da se za zdravilo izda dovoljenje za promet.

Zdravilo Glybera je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh informacij o zdravilu. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in posodobila povzetek glavnih značilnosti zdravila, če bo potrebno.

Katere informacije o zdravilu Glybera še pričakujemo?

V skladu s pogoji odobritve mora družba predložiti dodatne podatke o ravneh maščobe v krvi po obrokih in o imunskem odzivu na zdravilo Glybera pri novih bolnikih. Družba bo predložila tudi podatke iz registra za spremljanje izida pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Glybera, in dodala dodaten nadzor pri proizvodnji zdravila za izboljšanje njegovega varnostnega profila.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Glybera?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Glybera je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu z njim so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Poleg tega mora družba vzpostaviti program omejenega dostopa do zdravila Glybera, s čimer bo zagotovila, da se bo ob postavljeni diagnozi pravilno uporabljalo. Zdravilo se bo dostavilo samo tistim zdravnikom, ki bodo prejeli ustrezno izobraževalno gradivo in ga bodo uporabljali za zdravljenje samo tistih bolnikov, ki so zabeleženi v registru. Družba bo bolnikom in zdravstvenim delavcem zagotovila tudi izobraževalno gradivo z informacijami o dajanju tega zdravila ter o obvladovanju tveganj, povezanih z njim. Bolniki bodo prav tako prejeli opozorilno kartico za bolnika.

Druge informacije o zdravilu Glybera

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Glybera, veljavno po vsej Evropi, izdala 25. oktobra 2012.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Glybera je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Glybera preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Glybera je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 10-2015.

Zdravilo nima več dovoljenja za promet