



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Glybera

alipogentiparvovek

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Glybera. Det förklarar hur kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur Glybera ska användas.

Vad är Glybera?

Glybera är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen alipogentiparvovek. Det finns som injektionsvätska, lösning.

Glybera är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "genterapiprodukt". Det är en typ av läkemedel som verkar genom att gener förs in i kroppen.

Vad används Glybera för?

Glybera används för att behandla vuxna patienter med lipoproteinlipasbrist som haft svåra eller multipla pankreatitanfall (inflammation i bukspottkörteln) trots en fettsnål kosthållning.

Lipoproteinlipasbrist är en sällsynt sjukdom där patienterna har ett fel i genen för lipoproteinlipas, ett enzym som svarar för fettnedbrytningen. Patienter med denna sjukdom måste stå på en strikt fettsnål kost och riskerar att få återkommande anfall av pankreatit, som är en allvarlig och livshotande komplikation.

Glybera ges bara till patienter som har fått sin sjukdom bekräftad genom lämpliga genterester och som har spårbara halter av enzymet lipoproteinlipas i blodet.

Eftersom antalet patienter med lipoproteinlipasbrist är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Glybera klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 8 mars 2004.

Läkemedlet är receptbelagt.



Hur används Glybera?

Glybera får bara ordinerats av och ges under överinseende av en läkare med utbildning i att behandla lipoproteinlipasbrist och i genterapi.

Glybera ges som engångsbehandling med hjälp av flera injektioner i musklerna i lår och underben. Mängden läkemedel som ska injiceras och antalet injektioner är beroende av patientens kroppsvikt. Mer information om den dos Glybera som ska ges finns i produktresumén (ingår också i EPAR).

Under tre dagar före behandlingen med Glybera och tolv veckor därefter får patienterna immunsuppressiv behandling för att minska immunsystemets reaktioner mot läkemedlet. Till följd av de många injektioner som krävs bör de ges med ryggmärgsbedövning eller regional bedövning (läkemedel som bedövar vissa delar av kroppen för att blockera smärtan).

Hur verkar Glybera?

Den aktiva substansen i Glybera, alipogentiparvovek, kommer från ett virus som har modifierats så att det kan bära lipoproteinlipasgenen in i kroppens celler. När den injiceras in i musklerna korrigerar den lipoproteinlipasbristen genom att göra det möjligt för musklerna att producera enzymet. Enzymet som produceras av dessa celler kan sedan hjälpa till att bryta ner fetter i blodet och minskar på så vis antalet pankreatitanfall och sjukdomens svårighetsgrad.

Det modifierade virusmaterial som används i Glybera orsakar inga infektioner och kan inte göra kopior av sig självt.

Hur har Glyberas effekt undersökts?

Glybera har studerats på 27 patienter med lipoproteinlipasbrist som stod på en fettsnål kost. De flesta patienter som fick Glybera fick dessutom immunsuppressiv behandling. De huvudsakliga effektmått var sänkning av fettnivåerna i blodet efter måltid och minskning av antalet pankreatitanfall.

Vilken nytta har Glybera visat vid studierna?

Uppgifterna visade att fettnivåerna i blodet efter måltid sänktes hos vissa patienter. Man såg också en minskning av antalet pankreatitanfall hos vissa patienter, liksom färre intagningar på sjukhus och vistelser på intensivvårdsavdelning. Trots att det bara fanns data för ett litet antal patienter visar resultaten att Glybera skulle vara gynnsamt för patienter som har haft svåra eller multipla pankreatitanfall.

Vilka är riskerna med Glybera?

Den oftast rapporterade biverkningen av Glybera är smärta i benen efter injektionerna, som inträffar hos en tredjedel av patienterna. Andra vanligen rapporterade biverkningar är huvudvärk, trötthet, hypertermi (förhöjd kroppstemperatur), blåmärken och förhöjda nivåer i blodet av enzymet kreatinkinasa (ett tecken på skadad muskelfävnad). En patient fick diagnosen lungemboli (koagel i blodkärlen till lungorna) sju veckor efter behandlingen. Med tanke på hur få patienter som behandlats med läkemedlet ger dessa biverkningar inte någon heltäckande bild av frekvensen och typen av biverkningar för Glybera. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Glybera finns i bipacksedeln.

Glybera får inte ges till patienter med immunbrist (nedsatt motståndskraft mot sjukdomar), ökad blödningsrisk eller muskelsjukdom. Antikoagulantia, som kan öka blödningsrisken, får inte tas från veckan

före behandlingen med Glybera till dagen efter. Patienter får heller inte använda p-piller. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför har Glybera godkänts?

Efter att noggrant gått igenom alla uppgifter och omständigheter kring sjukdomen, däribland hur extremt sällsynt den är, drog CHMP slutsatsen att studiernas resultat visade att nyttan med Glybera är större än dess risker hos patienter som har haft svåra eller multipla pankreatitanfall trots en fettsnål kosthållning. Detta är en undergrupp av allvarligt drabbade patienter med ett stort ouppfyllt medicinskt behov. CHMP rekommenderade därför att läkemedlet skulle godkännas för försäljning.

Glybera har godkänts i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall" då det inte varit möjligt att få fullständig information om läkemedlet eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Glybera saknas för närvarande?

Enligt villkoren för godkännandet måste företaget lämna in kompletterande uppgifter om fettnivåer i blodet efter måltid och om immunreaktionen på Glybera hos nya patienter. Företaget kommer även att lämna in uppgifter från ett register för att följa resultatet hos patienter som behandlats med Glybera. Dessutom kommer ett steg att läggas till i tillverkningsprocessen för att förbättra läkemedlets säkerhetsprofil.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Glybera?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Glybera används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Glybera. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Vidare har företaget upprättat ett program för begränsad åtkomst för att säkerställa att Glybera används korrekt när diagnosen har bekräftats. Läkemedlet kommer bara att vara tillgängligt för läkare som fått lämpligt utbildningsmaterial och kommer endast att användas för att behandla patienter som deltar i registret. Företaget kommer även att förse patienter och vårdpersonal med utbildningsmaterial som innehåller information om hur Glybera administreras och hur riskerna med läkemedlet hanteras. Patienterna kommer dessutom att få ett patientvarningskort.

Mer information om Glybera

Den 25 oktober 2012 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Glybera som gäller i hela EU.

Det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Mer information om behandling med Glybera finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Glybera från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 10-2015.