



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/689749/2020
ЕМЕА/Н/С/номер на продукта

Libmeldy (автоложна, обогатена с CD34+ клетки популация, която съдържа хемопоеитични стволови и прогениторни клетки, трансдуцирани ex vivo чрез лентивирусен вектор, кодиращ гена на човешка арилсулфатаза А)

Общ преглед на Libmeldy и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Libmeldy и за какво се използва?

Libmeldy е лекарство, което се използва за лечение на деца с метакроматична левкодистрофия (МЛД). МЛД е рядко наследствено заболяване, при което има промяна (мутация) в ген, необходим за синтеза на ензима, наречен арилсулфатаза А (ARSA), който разгражда вещества, наречени сулфатиди. В резултат на това сулфатидите се натрупват и увреждат нервната система и други органи и причиняват симптоми като затруднения при ходене и постепенно влошаване на умственото състояние, а в крайна сметка водят до смърт.

Libmeldy се използва при деца с МЛД, при които има мутация на гена ARSA. Прилага се

- при деца с късна детска или ранна ювенилна форма на заболяването, които все още не са развили признаци или симптоми;
- при деца с ранна ювенилна форма на МЛД, които имат начални симптоми, но продължават да имат способност да ходят самостоятелно и при които все още не се е развило влошаване на умственото състояние.

Libmeldy е лекарствен продукт за модерна терапия, наречен „продукт за генна терапия“. Този вид лекарство действа чрез въвеждане на гени в организма. Активното вещество в Libmeldy е стволови клетки (CD34+ клетки), извлечени от собствения костен мозък или кръв на пациента, които са модифицирани така, че да съдържат копие на гена за синтез на ARSA и които могат да се делят и да произвеждат други видове кръвни клетки.

МЛД се счита за рядко заболяване и Libmeldy е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 13 април 2007 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu307446.



Как се използва Libmeldy?

Libmeldy се отпуска по лекарско предписание и може да се прилага само в специализиран център за трансплантации.

За получаване на Libmeldy се взима проба от стволови клетки, които се събират от костния мозък или от кръвта на пациента. Те се модифицират за получаване на Libmeldy, като се включва копие на гена за синтез на ARSA.

Libmeldy може да се прилага само на пациента, чийто клетки са използвани за приготвяне на лекарството. Libmeldy се прилага под формата на инфузия (вливане) във вена и препоръчителната доза зависи от телесното тегло на пациента. Няколко дни преди лечението се прилага друго лекарство, бусулфан, като т.нар. режим на кондициониране, за да се изчистят старите костномозъчни клетки и да бъдат заменени с модифицираните клетки в Libmeldy. На пациентите се прилагат също други лекарства, за да се намали рискът от реакции.

За повече информация относно употребата на Libmeldy вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Libmeldy?

За производството на Libmeldy от кръвта или от костния мозък се извличат CD34+ клетки (клетки, които могат да образуват бели кръвни клетки). Ген, който им позволява да синтезират ARSA, се вкарва в CD34+ клетките, като се използва тип вирус, наречен лентивирус, който е променен генетично, така че да носи гена за ARSA в клетките и да не причинява вирусно заболяване при хора.

След венозното му приложение на пациента, Libmeldy се транспортира от кръвообращението в костния мозък, където CD34+ клетките започват да се размножават и да образуват нормални бели кръвни клетки, които могат да произведат ARSA. Тези бели кръвни клетки се разпространяват в организма и произвеждат ARSA, което помага за разграждането на сулфатидите в околните клетки и по този начин контролира симптомите на заболяването. Очаква се ефектите да продължат дълго.

Какви ползи от Libmeldy са установени в проучванията?

Ползите от Libmeldy за лечение на МЛД са показани в основно проучване, обхващащо 20 деца с късна детска или ранна ювенилна форма на МЛД. Активността на ARSA се увеличава при всички деца до нива над или в диапазона за здрави деца в рамките на 3 месеца след лечението. След 2 години общия резултат за измерителя на общата двигателна функция (GMFM): (стойност между 0 и 100, измерваща способността на детето да извършва нормални движения като пълзене, изправяне и ходене) е 72,5 в групата с късна детска форма на МЛД, в сравнение със 7,4 при медицинските показатели за нелекувани деца в подобно състояние. По сходен начин при деца с ранна ювенилна форма на МЛД средният резултат 2 години след лечение с Libmeldy е 76,5, докато този при нелекувани преди това случаи е 36,3. Най-голяма е ползата при деца, които все още не са развили симптоми, а при тези, които вече не могат да ходят самостоятелно или при които се е развило влошаване на умственото състояние, такава ползва изглежда не може да бъде установена.

При проследяването е установено, че ползата от лечението продължава до 8 години.

Какви са рисковете, свързани с Libmeldy?

Най-честата нежелана реакция при Libmeldy (която може да засегне повече от 1 на 10 души) е създаване на антитела срещу ARSA, въпреки че това изглежда не влияе върху действието на Libmeldy. В резултат на кондициониращия режим с бусулфан често се наблюдават нисък брой бели кръвни клетки, понякога придружено с температура (признак на инфекция), метаболитна ацидоза (дисбаланс в нивата на киселина в организма), стоматит (възпаление на устата), повръщане, хепатомегалия (уголемен черен дроб), венооклузивна чернодробна болест (когато кръвоносните съдове на черния дроб се запушат, причинявайки увреждане на черния дроб) и овариална недостатъчност при момичетата.

За пълния списък на нежеланите реакции, съобщени при Libmeldy, вижте листовката.

Libmeldy не трябва да се използва при пациенти, които преди това са били подложени на генна терапия, включваща кръвни стволови клетки, или при пациенти, на които не могат да се прилагат лекарствата, необходими да ги подготвят за производството или приема на Libmeldy. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Libmeldy е разрешен за употреба в ЕС?

Ползите от Libmeldy при пациенти с МЛД, които все още не са развили симптоми, са ясни и през периода на проучването пациентите имат напредък, подобен на този при здрави лица. Ползата е по-малко изразена и по-променлива при пациентите с ранна ювенилна форма на МЛД, които вече имат симптоми, затова употребата в тази група е ограничена до тези, които все още могат да ходят и при които няма влошаване на умственото състояние.

Въпреки че ползата от Libmeldy продължава няколко години, все още не е ясно дали тя ще продължи през целия живот и дали е необходимо продължително проследяване. Тъй като МЛД е рядко заболяване, проучванията са неизбежно малки, а наличните данни за нежелани реакции са ограничени, затова е нужно дългосрочно проследяване. Наблюдаваните досега нежелани реакции съответстват на очакваните за този тип лечение. Предвид сериозността на заболяването и липсата на съществуващи лечения Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Libmeldy са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Libmeldy?

Фирмата, която предлага Libmeldy на пазара, ще проведе дългосрочно проучване, за да предостави допълнителна информация за ползите и безопасността на лекарството и ще вземе мерки, за да гарантира, че лекарството може да се произвежда бързо за пациентите, които отговарят на условията на лечение, за да могат те да бъдат лекувани възможно най-рано, преди симптомите да започнат или да прогресират. Освен това фирмата ще осигури обучителни материали за медицинските специалисти и пациентите или техните болногледачи относно това как да се използва и наблюдава Libmeldy, както и сигнална карта на пациента, която те да показват при лечение.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Libmeldy, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Libmeldy непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Libmeldy, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Libmeldy:

Допълнителна информация за Libmeldy можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/libmeldy.