



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/689741/2020
EMA/H/C/numru tal-prodott

Libmeldy (*popolazzjoni arrikkita fiċ-ċelloli CD34+ awtologi li fiha ċ-ċelloli staminali u proġenituri ematopojetiči trasdotti ex vivo permezz ta' vettur lentivirali li jikkodifika l-gene arylsulfatase A uman*)

Ħarsa ġenerali lejn Libmeldy u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Libmeldy u għal xiex jintuża?

Libmeldy huwa mediċina użata biex tikkura tfal li jbatu minn leucodystrophia metachromatica (DLM). DLM hija disturb rari li jintiret fejn ikun hemm bidla (mutazzjoni) f'gene meħtieġa biex issir enzima msejġha arylsulfatase A (ARSA), li tkisser is-sustanzi msejġha sulfatidi. B'riżultat ta' dan, is-sulfatidi jakkumulaw u jagħmlu ħsara lis-sistema nervuża u organi oħra, li jikkawżaw sintomi bħal diffikultajiet fil-mixi, deterjorament mentali gradwali u mewt eventwali.

Libmeldy jintuża fit-tfal b'DLM li għandhom mutazzjonijiet fil-gene ARSA. Jingħata lil

- dawk bil-forma infantili tardiva jew bil-forma ġovanili bikrija tal-marda li jkunu għadhom ma żviluppaw l-ebda sintomu;
- dawk b'DLM ġovanili bikrija li għandhom sintomi inizjali iżda li xorta jistgħu jimxu b'mod indipendenti u għadhom ma żviluppawx deterjorament mentali.

Libmeldy huwa tip ta' mediċina ta' terapija avvanzata msejġha 'terapija tal-ġeni'. Din it-tip ta' mediċina taħdem billi twassal il-ġeni fil-ġisem. Is-sustanza attiva f'Libmeldy hija ċelloli staminali, (ċelloli CD34+), derivati mill-mudullun jew demm tal-pazjent stess, li ġew modifikati sabiex ikollhom kopja tal-gene biex jagħmlu ARSA u jistgħu jinqasmu biex jipproduċu tipi oħrajn ta' ċelloli tad-demm.

DLM hija rari, u Libmeldy ġie denominat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-13 ta' April 2007. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn:

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

Kif jintuża Libmeldy?

Libmeldy jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tingħata biss f'ċentru speċjalizzat fit-trapjanti.

Biex jithejja Libmeldy, kampjun li fih iċ-ċelloli staminali jingħabar jew mill-mudullun jew mid-demm tal-pazjent. Dawn jiġu modifikati sabiex jagħmlu Libmeldy billi tiġi inkluża kopja tal-gene biex isir ARSA.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact Telephone +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Libmeldy jista' jingħata biss lill-pazjent li ċ-ċelloli tiegħu ntużaw sabiex issir il-mediċina. Huwa trattament singolu, jingħata bħala infużjoni (dripp) go vina u d-doża rakkomandata tiddependi mill-piż tal-ġisem tal-pazjent. Ftit jiem qabel il-kura mediċina oħra, il-busulfan, tingħata bħala 'l hekk imsejha kura ta' kondizzjonament, biex jitneħħew iċ-ċelloli tal-mudullun eżistenti sabiex ikunu jistgħu jiġu sostitwiti biċ-ċelloli modifikati f'Libmeldy. Il-pazjenti jingħataw ukoll mediċini oħrajn qabel il-kura sabiex jitnaqqas ir-riskju ta' reazzjonijiet.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Libmeldy, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Libmeldy?

Sabiex isir Libmeldy, iċ-ċelloli CD34+ (ċelloli li jistgħu jipproduċu ċ-ċelloli bojod tad-demem) jiġu estratti mid-demem jew mill-mudullun. Ġene li jippermettilhom jipproduċu l-ARSA jiddaħħal fiċ-ċelloli CD34+ bl-użu ta' tip ta' virus li jissejjaħ lentivirus, li ġie mibdul ġenetikament sabiex ikun jista' jgħorr il-ġene ARSA fiċ-ċelloli u ma jikkawżax mard virali fil-bnedmin.

Ladarba jingħata lura lill-pazjent ġol-vina, Libmeldy jiġi ttrasportat fiċ-ċirkolazzjoni tad-demem għal mudullun fejn iċ-ċelloli CD34+ jibdeu jikbru u jagħmlu ċelloli tad-demem bojod normali li jistgħu jipproduċu ARSA li taħdem. Dawn iċ-ċelloli bojod tad-demem jinfirxu mal-ġisem u jipproduċu ARSA, biex b'hekk jgħinu fit-tkissir tas-sulfatidi fiċ-ċelloli tal-madwar, u b'hekk jikkontrollaw is-sintomi tal-marda. L-effetti huma mistennijali jieħdu fit-tul.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Libmeldy li ħarġu mill-istudji?

Il-benefiċċji ta' Libmeldy fil-kura ta' DLM ntwerew fi studju ewlieni li involva 20 tifel u tifla b'DLM infantili tardiva jew b'DLM ġovanili bikrija. L-attività ta' ARSA żdiedet fit-tfal kollha għal livelli ogħla minn jew fi ħdan il-medda għal tfal b'saħħithom fi żmien 3 xhur mill-kura. Wara sentejn, il-punteġġ ġenerali tal-Miżura Grossa ta' Funzjoni bil-Mutur Motor Gross (Gross Motor Function Measure score) (valur bejn 0 u 100 li jkejjel il-kapaċità ta' tifel/tifla li jkun qed jiżviluppa li jagħmel movimenti normali bħal jimxi fuq żaqqu, joqgħod bilwieqfa u jimxi) kien 72.5 fil-grupp b'DLM infantili tardiva, meta mqabbel ma' 7.4 f'rekords ta' tfal simili li ma ġewx ikkurati. B'mod simili, fit-tfal b'DLM ġovanili bikrija, il-punteġġ medju sentejn wara l-kura b'Libmeldy kien ta' 76.5, filwaqt li f'każijiet preċedenti li ma ġewx ikkurati kien ta' 36.3. Il-benefiċċju kien l-akbar fi tfal li kienu għadhom ma żviluppawx sintomi u deher li ntilef f'dawk li ma setgħux jimxu iktar indipendentement jew li żviluppaw deterjorament mentali.

Kien hemm evidenza ta' benefiċċju kontinwu fuq is-segwitu sa 8 snin.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Libmeldy?

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Libmeldy (li jista' jaffettwa aktar minn 1 minn kull 10) huwa l-iżvilupp ta' antikorpi għal ARSA, għalkemm dan ma jidherx li jaffettwa kemm jaħdem sew Libmeldy. B'riżultat tal-kura ta' kondizzjonament b'busulfan, għadd baxx ta' ċelloli bojod, xi drabi bid-deni (sinjal ta' infezzjoni), aċidożi metabolika (żbilanċ fil-livelli tal-aċidu tal-ġisem), stomatite (infjammazzjoni tal-ħalq), remettar, epatomegalija (fwied imkabbar), mard tal-fwied veno-okklużiv (meta l-arterji tad-demem fil-fwied jiġu mblukkati) u l-insuffiċjenza tal-ovarji fil-bniet huma wkoll komuni ħafna.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji ta' Libmeldy, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Libmeldy m'għandux jintuża f'pazjenti li kellhom terapija tal-ġeni preċedenti li tinvolvi ċelloli staminali tad-demem, jew f'dawk li ma jistgħux jingħataw il-mediċini meħtieġa biex jippreparawhom biex jipproduċu jew jirċievu Libmeldy. Għal-lista sħiħa ta' restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Libmeldy **gie** awtorizzat fl-UE?

Il-benefiċċji ta' Libmeldy f'pazjenti b'DLM li kienu għadhom ma żviluppawx sintomi kienu ċari, u matul il-perjodu tal-istudju il-pazjenti żammew progress simili għal suġġetti b'saħħithom. Il-benefiċċju kien inqas evidenti u aktar varjabbli f'dawk li diġà għandhom DLM ġovanili bikrija li diġà għandhom sintomi, għalhekk l-użu f'dan il-grupp kien limitat għal dawk li xorta jistgħu jimxu u ma żviluppawx tnaqqis fil-funzjoni mentali.

Għalkemm il-benefiċċju b'Libmeldy dam diversi snin, mhuwiex ċar jekk huwiex sejjer jipersisti tul il-ħajja, u hemm bżonn ta' segwitu estiż. Minħabba li DLM hija marda rari, l-istudji huma neċessarjament żgħar u l-ammont ta' *data* disponibbli dwar l-effetti sekondarji huwa limitat, u ser ikun jeħtieġ ukoll segwitu fit-tul; madankolu, l-effetti sekondarji li deheru sal-lum kienu konformi ma' dawk mistennija għal din it-tip ta' kura. Minħabba s-serjetà tal-kundizzjoni u n-nuqqas ta' kuri eżistenti, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Libmeldy huma akbar mir-riskji tiegħu u jista' jkun awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex **jigi żgur** l-użu sigur u effettiv ta' Libmeldy?

Il-kumpanija li tqiegħed Libmeldy fis-suq sejra twettaq studju fit-tul biex tipprovdi aktar informazzjoni dwar il-benefiċċji u s-sigurtà tal-mediċina, u ser tiegħu passi biex tiżgura li l-pazjenti li jikkwalifikaw għall-kura jista' jkollhom il-mediċina prodotta malajr kemm jista' jkun sabiex ikunu jistgħu jiġu kkurati kemm jista' jkun kmieni, qabel ma s-sintomi jibdeu jew jipprogressaw. Barra minn hekk, il-kumpanija se tipprovdi materjali edukattivi għall-professjonisti tal-kura tas-saħħa u għall-pazjenti jew għal dawk li jieħdu ħsiebhom dwar kif Libmeldy għandu jintuża u jiġi mmonitorjat, u kard ta' twissija tal-pazjent dwar il-kura tagħhom għall-pazjenti biex juru meta jirċievu l-kura tas-saħħa.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Libmeldy.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Libmeldy hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Libmeldy huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni **oħra** dwar Libmeldy

Aktar informazzjoni dwar Libmeldy tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/libmeldy.