

A KIS KÖZVETLEN CSOMAGOLÁSI EGYSÉGEKEN MINIMÁLISAN FELTÜNTETENDŐ ADATOK

INJEKCIÓS ÜVEG FELIRAT

1. A GYÓGYSZER NEVE ÉS AZ ALKALMAZÁS MÓDJA

Glybera 3×10^{12} genomkópia/ml oldatos injekció
Alipogén tiparvovek
Intramuscularis alkalmazás

2. AZ ALKALMAZÁSSAL KAPCSOLATOS TUDNIVALÓK

Használat előtt olvassa el a mellékelt betegtájékoztatót!

3. LEJÁRATI IDŐ

Felhasználható:

4. A GYÁRTÁSI TÉTEL SZÁMA

Batch:

5. A TARTALOM SÚLYRA, TÉRFOGATRA, VAGY EGYSÉGRE VONATKOZTATVA

1 ml

6. EGYÉB INFORMÁCIÓK

Fagyasztva (-25°C és 15°C között) tárolandó.

Ez a készítmény genetikailag módosított organizmusokat tartalmaz.

Betegfigyelmeztető kártya

A kártya elülső oldalán található információk:

Glybera

Betegkártya sürgősségi helyzetre

Egyedi gyártási tétel szám:

Kezelés dátuma:

Az orvos neve:

Az orvos telefonszáma:

Beteg kódszáma:

A készítmény gyártója és engedélyének jogosultja:

uniQure biopharma B.V.

Meibergdreef 61

1105 BA Amszterdam

Hollandia

A hátoldalon található információk:

Információk a beteg számára: Mindig hordja magával ezt a kártyát. Mutassa be a kártyát egészségügyi dolgozóknak (orvos, nővér), ha konzultációra vagy kórházi kezelésre kerül sor.

Információk az egészségügyi szakemberek számára: A kártya tulajdonosának Glybera-t adtak be. Ez egy géntechnológiával készült az LPL-hiány kezelésére szolgáló készítmény, és genetikailag módosított organizmusokat tartalmaz. A Glybera-t csak egyszeri adásra törzskönyvezték, és ismételten beadni nem szabad. A lehetséges nemkívánatos reakciók jelentésekor kérjük, hogy tüntesse fel a kártya elülső oldalára nyomtatott egyedi gyártási számot. A kártya tulajdonosa nem adományozhat vért, szervet vagy szöveteket, és a Glybera-kezelés után legalább 12 hónapig mechanikus fogamzásgátló módszert kell alkalmaznia.

B. BETEGTÁJÉKOZTATÓ

A gyógyszer forgalomba hozatali engedélye megszűnt

Betegájékoztató: Információk a felhasználó számára

Glybera 3×10^{12} genomkópia/ml oldatos injekció

Alipogén tiparvovek

▼ Ez a gyógyszer fokozott felügyelet alatt áll, mely lehetővé teszi az új gyógyszerbiztonsági információk gyors azonosítását. Ehhez Ön is hozzájárulhat a tudomására jutó bármilyen mellékhatás bejelentésével.

A mellékhatások jelentésének módjairól a 4. pont végén (Mellékhatások bejelentése) talál további tájékoztatást.

Mielőtt elkezdenék adni Önnek ezt a gyógyszert, olvassa el figyelmesen az alábbi betegájékoztatót, mert az Ön számára fontos információkat tartalmaz.

- Tartsa meg a betegájékoztatót, mert a benne szereplő információkra a későbbiekben is szüksége lehet.
- További kérdéseivel forduljon kezelőorvosához.
- Ha Önnél bármilyen mellékhatás jelentkezik, tájékoztassa erről kezelőorvosát. Ez a betegájékoztatóban fel nem sorolt bármilyen lehetséges mellékhatásra is vonatkozik.
- Ön betegkártyát kapott kezelőorvosától. Olvassa figyelemmel, és tartsa be a hozzá kapcsolódó utasításokat.
- Ha konzultációra megy vagy kórházba kerül, mutassa meg ezt a kártyát az Önt ellátó egészségügyi szakembereknek (orvos, nővér). Lásd 4. pont.

A betegájékoztató tartalma:

1. Milyen típusú gyógyszer a Glybera és milyen betegségek esetén alkalmazható?
2. Tudnivalók a Glybera beadása előtt
3. Hogyan kell beadni a Glybera-t?
4. Lehetséges mellékhatások
5. Hogyan kell a Glybera-t tárolni?
6. A csomagolás tartalma és egyéb információk

1. Milyen típusú gyógyszer a Glybera és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Glybera egy génterápiás gyógyszert, alipogén tiparvoveket tartalmaz, amely egy gént juttat a szervezetbe egy genetikai hiányosság korrigálása céljából. A lipidmódosító gyógyszerek csoportjába tartozik.

A Glybera egy meghatározott örökletes betegség, az ún. „lipoprotein -lipáz-hiány (LPLD)” kezelésére szolgál.

A lipoprotein-lipáz (LPL) a szervezetben természetesen előforduló anyag (pontosabban enzim), amely a vérben lévő bizonyos zsírok szintjét szabályozza. Lipoprotein-lipáz hiány esetén ez az enzim genetikai rendellenesség miatt hiányzik. A betegségben szenvedő egyéneknél nagyon magas zsírszintek alakulnak ki a vérben (hiperkilomikronémia).

A Glybera-t olyan felnőtt betegek kezelésére alkalmazzák, akiknél lipoprotein-lipáz hiányt (LPLD) diagnosztizáltak, és a zsírszegény étrend ellenére súlyos vagy többszöri hasnyálmirigy-gyulladás (pankréatitisz) alakul ki. Az LPL-hiány diagnózisát genetikai vizsgálattal igazolni kell. Ön csak akkor fog Glybera-t kapni, ha a vérben kimutatható mértékben található meg az LPL fehérje.

2. Tudnivalók a Glybera beadása előtt

Nem kaphat Glybera-t:

- ha allergiás az alipogén tiparvovekre vagy a Glybera (6. pontban [„További információk”] felsorolt)
- egyéb összetevőjére.
- ha az immunrendszere nem működik megfelelően
- ha fokozott Önnél a vérzés kockázata és/vagy valamilyen izombetegségben szenved
- ha Ön fogamzásgátló tablettát szed

Ha a fentiek bármelyike vonatkozik Önre, vagy ha azok megítélésében bizonytalan, beszéljen kezelőorvosával, mielőtt megkapná a Glybera-t.

Figyelmeztetések és óvintézkedések

- Fontos, hogy Ön megbeszélje kezelőorvosával és teljesen megértse a kezelés előnyeit és kockázatait.
- Mielőtt bevennie azokat a gyógyszereket, amelyek gyengítik a szervezet védekező rendszerét (immunszuppresszánsok), és mielőtt megkapná a Glybera-t, fontos, hogy tájékoztassa kezelőorvosát, ha bármilyen fennálló fertőzése van. Lásd még a 3. pontot: „Hogyan kell alkalmazni a Glybera-t?”.
- A Glybera egy génterápiás készítmény. Genetikailag módosított organizmusokat tartalmaz. A gyógyszert tartalmazó sejtek terjedésének elkerülése érdekében a Glybera-kezelés után nem adhat vért, és nem adhat szervet, szövetet vagy sejteket átültetés céljából.
- Tájékoztassa kezelőorvosát, ha cukorbetegségben szenved.
- Továbbra is be kell tartania a zsírszegény és alkoholmentes étrendet. Azoknak, akiknél lipoprotein-lipáz hiányt állapítottak meg, tanácsos gondosan ügyelniük az étrendre mind a Glybera-kezelés előtt, mind utána. Korlátozni kell a „szokásos étrendi zsirok” bevitelét, és nem ihatnak alkoholt.

További ellenőrző tesztek

Kismennyiségű vért vesznek majd Öntől a kezelés előtt valamint a kezelés után 6 és 12 hónappal, hogy felmérjék, hogyan reagál az Ön immunrendszere (védekező rendszere) a Glybera-kezelésre.

Gyermekek és serdülők

A Glybera nem javasolt gyermekek és 18 évesnél fiatalabb serdülők számára.

Egyéb gyógyszerek és a Glybera

Feltétlenül tájékoztassa kezelőorvosát vagy gyógyszerészét a jelenleg vagy nemrégiben szedett egyéb gyógyszereiről, beleértve a vénynélkül kapható készítményeket is. Különösen fontos, hogy tájékoztassa kezelőorvosát a Glybera beadása **előtt**, ha a következő gyógyszereket szedi:

- véralvadást befolyásoló gyógyszert, pl. acetilszalicilsavat (más néven aszpirint). Ez egy olyan anyag, amely jelen van a fájdalomcsillapításra és lázcsillapításra használt sokféle gyógyszerben, valamint a véralvadás gátlására alkalmazott ún. antikoagulánsokat, mint a warfarin és a heparin. Ezek a gyógyszerek a lábba adott injekciók beadása előtt legalább egy hétig, illetve az injekciók beadása után egy napig nem alkalmazhatók. Ha a Glybera beadása előtt vagy azzal egyidőben alkalmazza ezeket a gyógyszereket, az injekciók beadási helyén nemkívánatos véraláfutás vagy vérzés alakulhat ki.
- Szájon át szedhető fogamzásgátlók (lásd 2. pont, „Ne alkalmazza a Glybera-t”)

A Glybera egyidejű alkalmazása alkohollal

Azoknak, akiknél lipoprotein-lipáz hiányt állapítottak meg, tanácsos gondosan ügyelniük az étrendre mind a Glybera kezelés előtt, mind utána. Ők nem ihatnak alkoholt.

Terhesség és szoptatás

Ha Ön terhes vagy szoptat, illetve ha fennáll Önnél a terhesség lehetősége vagy gyermeket szeretne, bármilyen gyógyszer alkalmazása előtt beszéljen kezelőorvosával vagy gyógyszerészével.

A Glybera alkalmazása általában nem javasolt a terhesség alatt. Nagyon korlátozott mennyiségű információ áll rendelkezésre arról, hogy a Glybera mennyire biztonságos terhes nőknél.

- Fontos, hogy tájékoztassa kezelőorvosát, ha terhes, ha úgy gondolja, hogy terhes lehet, vagy ha szeretne teherbe esni. A kezelőorvosa mérlegeli, hogy a Glybera terhesség alatti alkalmazásával az Önnél várható előnyök meghaladják-e a babát érintő kockázatokat.
- A kezelés alatt és a kezelést követően legalább 12 hónapig használjon megfelelő mechanikus fogamzásgátlót, például óvszert a terhesség megelőzésére. Ne szedjen fogamzásgátló tablettát, mivel ez súlyosbíthatja a betegséget. Óvszert kell használni, hogy a lehető legkevesebb Glybera jusson át az Ön vagy partnere szervezetébe.
- Ha mégis teherbe esik a Glybera-val végzett kezelés alatt, tájékoztassa erről kezelőorvosát.

Nem ismeretes, hogy a Glybera bejut-e az anyatejbe vagy sem. A szoptatás nem javasolt a Glybera-val folytatott kezelés alatt.

Férfi betegeknek óvszert kell használniuk a Glybera-injekció beadása után legalább 12 hónapig. Az óvszer használata csökkenti a nő szervezetébe jutó Glybera mennyiségét.

A készítmény hatásai a gépjárművezetéshez és a gépek kezeléséhez szükséges képességekre

A Glybera alkalmazását követően gyakran figyeltek meg szédülést. Vegye ezt figyelembe, amikor gépjárművet vezet vagy gépet kezel. Beszélje meg kezelőorvosával.

Fontos információk a Glybera egyes összetevőiről

A Glybera nátriumot és káliumot tartalmaz. A szervezetébe jutó nátrium és kálium mennyisége attól függ, hogy hány injekcióra van szüksége. Ezt a kezelőorvosa az Ön testsúlya alapján számolja majd ki.

Ezt figyelembe kell vennie, ha Önnek sószegény étrendet írtak elő.

A gyógyszer egy adagja, melyet 27-60 helyre szúrnak be, 1 mmol-nál (39 mg) kevesebb káliumot tartalmaz, vagyis lényegében káliummentes.

3. Hogyan kell beadni a Glybera-t?

A Glybera-kezelést olyan orvos fogja felügyelni, aki az Ön betegségének ellátására szakosodott, az injekciókat pedig szakképzett és gyakorlott orvos vagy nővér adja be.

A Glybera-t egyetlen kezelési eljárás alkalmával, kórházban kapja majd meg. Ennek során egy injekciósorozatot (27–60 injekciót) kap, elosztva mindkét alsó végtagjának comb- és lábszárizmaiba. Az Önnek szükséges adagot, amely a testsúlyától függ, a kezelőorvosa számolja ki.

Mivel a Glybera-terápia folyamata során az injekciót igen sok helyre elosztva adják be, ezért a Glybera-injekciók beadása előtt helyi érzéstelenítőt fog kapni a gerincébe (ez csak a lábakat érzésteleníti), vagy egy lokalizáltabb érzéstelenítést. A kezelőorvosa megbeszéli majd Önnel az érzéstelenítést és alkalmazásának módját.

Miután beadták Önnek a Glybera-t, sárga elszíneződést észlelhet a lábán. Ezt az elszíneződést a jód okozza, amelyet a láb bőrének megtisztítására (sterilizálására) használnak a gyógyszer alkalmazása előtt. Ez rövid idő alatt elhalványul. Néhány órára vagy egy éjszakára a kórházban kell maradnia, hogy ellenőrizhessék, nem okozott-e a gyógyszer vagy az érzéstelenítőszer Önnél mellékhatásokat.

A Glybera-t egyetlen terápiás eljárás alatt adják be Önnek. Az első terápiás eljárást követően nem javasolt a Glybera ismételt beadása.

Fontos, hogy amikor először kapja a Glybera-t, a szervezet immunrendszere (védekezőrendszere) ne aktiválódjon. Ennek elkerülésére kezelőorvosa fel fog írni Önnek olyan gyógyszert is, amely csökkenti az immunrendszer működését (immunszuppresszánsnak nevezik). Ezt a Glybera-injekció

beadása előtt 3 nappal kell elkezdenie, és azt követően 12 hétig kell szednie. Ilyen immunszuppresszánsok például a ciklosporin és a mikofenolát-mofetil. Ezen kívül a Glybera alkalmazása előtt fél órával metilprednizolont is adhatnak. Fontos, hogy ezeket a gyógyszereket az adott utasításoknak megfelelően szedje. Ne hagyja abba a szedésüket anélkül, hogy beszélt volna kezelőorvosával.

Ha további tájékoztatást szeretne arról az immunszuppresszánsról, amelyet szedni fog, forduljon kezelőorvosához.

Ha az előírtnál több Glybera-t alkalmazott

Mivel ezt a gyógyszert orvos adja be, nem valószínű, hogy az előírtnál többet kap belőle. Ha egy adott helyre tévedésből két adagot adnak be, ez további helyi reakciókat okozhat, például véraláfutást vagy érzékenységet. Ezeket a kezelőorvosa megfelelően kezeli.

Ha bármilyen további kérdése van a gyógyszer alkalmazásával kapcsolatban, kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

4. Lehetséges mellékhatások

Mint minden gyógyszer, így a Glybera is okozhat mellékhatásokat, amelyek azonban nem mindenkinél jelentkeznek.

Nagyon gyakori (10 beteg közül több mint 1 beteget érinthet)

- fájdalom a láb(ak)ban (végtagfájdalom)
- megemelkedett testhőmérséklet
- fáradtság (kimerültség)
- fejfájás
- véraláfutások a comb és a lábszár izmaiban az injekciók következtében. Ezek csak rövid ideig tartanak.
- az izomban lévő kreatin-kináz enzim emelkedett vérszintje

Gyakori (10 beteg közül legfeljebb 1 beteget érinthet)

- hasi fájdalom
- hányinger
- székrekedés
- hidegrázás
- láz
- izomfájdalom és ízületi sajgás, fájdalom és merevség
- légzési nehézség, mellkasi fájdalom belégzésnél, és szívdobogás érzése, amelyet a tüdő fő véredényének elzáródása okozhat
- égő érzés
- magas vérnyomás
- olyan érzés, mintha rovarok futkosnának a bőrön (vagy a bőr alatt)
- vízvisszatartás
- csökkent étvágy
- szédülés
- bőrkiütés
- izomgörcsök
- kábaság
- fokozott szőrnövekedés
- kellemetlenség, duzzanat, kiütés és fájdalom az injekció beadásának helyén.

Az immunszuppresszánsok mellékhatásai

A Glybera-kezelés kiegészítéseként más gyógyszereket, ún. immunszuppresszánsokat is fognak adni Önnek (lásd a 3. pontot: „Hogyan kell alkalmazni a Glybera-t?”). Fontos, hogy megkérdezze

kezelőorvosát ezeknek a kiegészítő gyógyszereknek a mellékhatásairól. A kezelőorvosnak át kell adnia Önnek azon immunszuppresszánsok betegájékoztatóját (olyan, mint ez), amelyeket majd szednie kell. Ne hagyja abba a szedését anélkül, hogy beszélt volna a kezelőorvosával.

Mellékhatások bejelentése

Ha Önnél bármilyen mellékhatás jelentkezik, tájékoztassa kezelőorvosát vagy gyógyszerészét. Ez a betegájékoztatóban fel nem sorolt bármilyen lehetséges mellékhatásra is vonatkozik. A mellékhatásokat közvetlenül a hatóság részére is bejelentheti az **V. függelékben található elérhetőségeken keresztül**.

A mellékhatások bejelentésével Ön is hozzájárulhat ahhoz, hogy minél több információ álljon rendelkezésre a gyógyszer biztonságos alkalmazásával kapcsolatban.

5. Hogyan kell a Glybera-t tárolni?

A gyógyszer gyermekektől elzárva tartandó!

A címkén feltüntetett lejárati idő (Felhasználható:) után ne alkalmazza a Glybera-t. A lejárati idő az adott hónap utolsó napjára vonatkozik.

Az injekciós üvegeket fagyasztva, -25°C és -15°C között kell tárolni és szállítani.

Az eredeti csomagolásban tárolandó a fénytől való védelem érdekében.

A kiolvasztott gyógyszert azonnal fel kell használni. Amennyiben nem használják fel azonnal, az injekciós

üvegeket hűtőszekrényben, 2°C és 8°C között, fénytől védve kell tárolni, legfeljebb 8 órán át.

Ha nem hűtőszekrényben tárolják, a gyógyszer a fecskendőben, fénytől védve, legfeljebb 25°C -os hőmérsékleten tárolható, maximum 8 órán át.

Ez a gyógyszer genetikailag módosított organizmusokat tartalmaz, és az ilyen gyógyszerekre vonatkozó helyi előírások szerint kell megsemmisíteni.

6. A csomagolás tartalma és egyéb információk

Mit tartalmaz a Glybera?

A készítmény hatóanyaga az alipogén tiparvovek.

Az alipogén tiparvovek injekciós üveg 1 ml oldatot tartalmaz, amely 3×10^{12} genomkópiát (gk) tartalmaz.

Mindegyik betegspecifikus csomag megfelelő mennyiségű injekciós üveget tartalmaz ahhoz, hogy 1×10^{12} gk/testtömeg-kg dózist lehessen beadni betegenként.

Egyéb összetevők: dinátrium-foszfát, kálium-klorid, kálium-dihidrogén- foszfát, nátrium-klorid, szacharóz és injekcióhoz való víz.

Milyen a Glybera külleme és mit tartalmaz a csomagolás?

A Glybera tiszta vagy enyhén opálos, színtelen oldatos injekció, amely szilikonizált injekciós dugóval és lepattintható lemezzel lezárt, átlátszó injekciós üvegben kerül forgalomba.

Mindegyik előre formált, átlátszó, lezárt műanyag tok 2 vagy 3 injekciós üveget tartalmaz nedvszívó lappal ellátva. A beteg számára egyedileg összeállított csomag eltérő számú tokot tartalmaz a beteg testsúlyától függően.

A forgalomba hozatali engedély jogosultja és a gyártó

A forgalomba hozatali engedély jogosultja

uniQure biopharma B.V., Meibergdreef 61, 1105 BA Amszterdam, Hollandia.

Gyártó

uniQure biopharma B.V., Meibergdreef 61, 1105 BA Amszterdam, Hollandia.

A készítményhez kapcsolódó további kérdéseivel forduljon a forgalomba hozatali engedély jogosultjának helyi képviselőjéhez:

België/Belgique/Belgien

Chiesi SA/NV
Tél/Tel: +32 2 788 42 00

България

Chiesi Bulgaria EOOD
Тел.: +359 29201205

Česká republika

Chiesi CZ s.r.o.
Tel: + 420 261221745

Danmark

Chiesi Pharma AB
Tlf: + 46 8 753 35 20

Deutschland

Chiesi GmbH
Tel: + 49 40 89724-0

Eesti

Chiesi Pharmaceuticals GmbH
Tel: + 43 1 4073919

Ελλάδα

Chiesi Hellas AEBE
Τηλ: + 30 210 6179763

España

Chiesi España, S.A
Tel: + 34 93 494 8000

France

Chiesi SAS
Tél: + 33 1 47688899

Hrvatska

Chiesi Pharmaceuticals GmbH
Tel: +43 1 4073919

Ireland

Chiesi Ltd
Tel: + 44 0161 4885555

Ísland

Chiesi Pharma AB
Sími: + 46 8 753 35 20

Italia

Chiesi Farmaceutici S.p.A.
Tel: + 39 0521 2791

Lietuva

Chiesi Pharmaceuticals GmbH
Tel: + 43 1 4073919

Luxembourg/Luxemburg

Chiesi SA/NV
Tél/Tel: +32 2 788 42 00

Magyarország

Chiesi Hungary Kft.
Tel.:++36-1-429 1060

Malta

Chiesi Farmaceutici S.p.A.
Tel: + 39 0521 2791

Nederland

Chiesi Pharmaceuticals B.V.
Tel: +31 0 70 413 20 80

Norge

Chiesi Pharma AB
Tlf: + 46 8 753 35 20

Österreich

Chiesi Pharmaceuticals GmbH
Tel: + 43 1 4073919

Polska

Chiesi Poland Sp. z.o.o.
Tel.: +48 22 620 1421

Portugal

Chiesi Farmaceutici S.p.A.
Tel: + 39 0521 2791

România

Chiesi Romania S.R.L.
Tel: + 40 212023642

Slovenija

Chiesi Slovenija d.o.o.
Tel: ++386-1-43 00 901

Slovenská republika

Chiesi Slovakia s.r.o.
Tel: ++421 259300060

Suomi/Finland

Chiesi Pharma AB
Puh/Tel: + 46 8 753 35 20

Κύπρος
Chiesi Farmaceutici S.p.A.
Τηλ: + 39 0521 2791

Sverige
Chiesi Pharma AB
Tel: + 46 8 753 35 20

Latvija
Chiesi Pharmaceuticals GmbH
Tel: + 43 1 4073919

United Kingdom
Chiesi Ltd
Tel: + 44 0161 4885555

A betegtájékoztató legutóbbi felülvizsgálatának dátuma:

Ezt a gyógyszert „kivételes körülmények” között engedélyezték, ami azt jelenti, hogy a gyógyszer alkalmazására vonatkozóan – a betegség ritka előfordulása miatt – nem lehetett teljes körű információt gyűjteni.

Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden, erre a gyógyszerre vonatkozó új információt, és szükség esetén ezt a betegtájékoztatót is módosítja.

A gyógyszerről részletes információ az Európai Gyógyszerügynökség internetes honlapján: (<http://www.ema.europa.eu>) található.

Ugyanitt más, a ritka betegségekre és kezeléseikre vonatkozó információt tartalmazó honlapok linkjei is megtalálhatók.

Az alábbi információk kizárólag egészségügyi szakembernek szólnak:

A Glybera-kezelést, teljes körűen megbeszélve azt a beteggel, csak olyan orvos rendelheti el, illetve olyan orvos felügyelete mellett alkalmazhatják, aki jártas az LPL-hiányban szenvedő betegek kezelésében és génterápia adásában. A beadást követő anafilaxiás reakció előfordulása esetére a Glybera beadása során a megfelelő orvosi kezelésnek és felügyeletnek mindig azonnal elérhetőnek kell lennie.

Adagolás

A Glybera maximális beadható összdózisa 1×10^{12} gk/testtömeg-kg.

A Glybera-t csak egyszeri adásra törzkönyvezték. Nincsenek rendelkezésre álló adatok a Glybera ismételt alkalmazásáról, ezért a Glybera ismételten nem adható.

A Glybera-t az alsó végtagokba egyszerre beadott intramuscularis injekciók sorozataként kell alkalmazni. Az adag injekciózasi helyenként $1,5 \times 10^{12}$ gk vagy 0,5 ml oldatos injekció. Az egyes injekciózasi helyeknél egy, 1 ml-es, egyértelmű, 0,5 ml-es mennyiségi jelekkel ellátott fecskendőket kell használni. A térfogatnak injekciózasi helyenként tilos meghaladnia a 0,5 ml-t. A fecskendőket tilos többször használni.

A kezelést a neutralizáló antitestek, valamint a kiindulási, illetve a kezelést követő 6 és 12 hónapos AAV1 és LPL^{S447X} elleni T-sejt válasz mérésével ellenőrizni kell.

A Glybera csak akkor alkalmazható, ha az LPL-hiány diagnózisát megfelelő genetikai teszt segítségével megerősítették.

Az injekciós üvegek számának kiszámításához a beteg testtömegének egész kg-ra kerekítése az irányadó. A beteg testtömegét el kell osztani 3-mal, és felkerekíteni a következő egész számra.

Ez a beadandó injekciós üvegek száma.

A beinjekciózandó helyek és a fecskendők számának meghatározásához a beteg testtömegének egész kg-ra kerekítése az irányadó. A beteg testtömegét el kell osztani 3-mal, majd kerekítés nélkül meg kell szorozni 2-vel, és végül felkerekíteni a következő egész számra. Ez adja meg a beinjekciózandó helyek számát és a beteg kezeléséhez – injekciózási helyenként 0,5 ml térfogat beadásához – szükséges (egyenként 0,5 ml oldattal feltöltött) fecskendők összmennyiségét.

Az alábbi táblázatban láthatók példák a szokásos adagolási rendre a betegek testtömege alapján:

Testtömeg (kg)	Az injekciós üvegek száma (1 ml)	Az 1 ml-es (egyenként 0,5 ml oldattal feltöltött) fecskendők száma	A beinjekciózandó helyek száma
40	14	27	27
50	17	34	34
60	20	40	40
65	22	44	44
70	24	47	47
75	25	50	50
80	27	54	54
90	30	60	60

A Glybera beadása előtti harmadik naptól a beadást követő 12 héten át immunszuppresszív kezelést kell alkalmazni: ciklosporin (3 mg/kg/nap) és mikofenolát-mofetil (2 x 1 g/nap) javasolt.

Továbbá a Glybera-injekció beadása előtt fél órával 1 mg/ttkg metilprednizolont kell adni intravénás bólusban.

Gyermekek

A Glybera biztonságosságát és hatásosságát 18 évnél fiatalabb gyermekek és serdülők esetében nem igazolták. Nincsenek rendelkezésre álló adatok.

Időskorúak

A Glybera időskorúaknál történő alkalmazásával kapcsolatosan kevés a tapasztalat. Az időskorú populációban a Glybera adagjának módosítása nem szükséges.

Szükségessé válhat az immunszuppresszáns dózisának módosítása.

Vesekárosodás vagy májkárosodás

A Glybera májkárosodásban vagy vesekárosodásban szenvedő betegeknél történő alkalmazásával kapcsolatosan kevés a tapasztalat.

A Glybera dózisának módosítása nem szükséges.

Az alkalmazás módja

Az intramuscularis injekció beadásakor a beteg több 0,5 ml-es injekciót kap (egy injekciót fecskendőnként) mindkét alsó végtagjának comb- és lábszárizmaiba elosztva, aseptikus körülmények között, például jódot alkalmazva.

A beadandó injekciók száma miatt az intramuscularis beadás előtt spinalis vagy regionális anaesthesia javasolt. Amennyiben ilyen eljárás ellenjavallt, mély sedatio javasolt helyette.

A Glybera-t semmilyen körülmények között nem szabad intravascularisan beadni.

Az intramuscularis injekciózás biztosítása érdekében javasolt az injekciókat ultrahangos vagy

elektrofiziológias ellenőrzés mellett beadni.

Az alkalmazásra, kezelésre és megsemmisítésre vonatkozó utasítások

Lásd a genetikailag módosított organizmusokat tartalmazó gyógyszerek kezelésére és megsemmisítésére vonatkozó helyi biológiai biztonságossági irányelveket.

A Glybera-val potenciálisan érintkezésbe került munkafelületeket és anyagokat legalább 10 percen át dekontaminálni kell a burokkal nem rendelkező vírusokkal szemben is hatásos, megfelelő vírusölő fertőtlenítőszerrel (például hipoklorit és klórt felszabadító készítmények).

A Glybera előkészítése a beadáshoz

A beadandó Glybera mennyiségének kiszámítása után (lásd az adagolásra vonatkozó részt) a fecskendőbe történő felszívás előtt körülbelül 30-45 perccel a megfelelő számú egyszer használatos injekciós üveget a fagyasztóból ki kell venni, és szobahőmérsékleten (15°C -25°C) hagyni kell őket felolvadni.

Az egyenletes elkeveredés biztosítása érdekében felolvasztás után kétszer óvatosan meg kell döntögetni mindegyik injekciós üveget. Meg kell nézni, hogy az injekciós üvegekben vannak-e szemcsék, és milyen a színük. A tiszta vagy enyhén opálos és színtelen oldat nem tartalmazhat látható részecskéket. Csak tiszta, színtelen, látható részecskéktől mentes oldatot szabad felhasználni. Ha egy injekciós üvegen sérülés jelei láthatók, akkor az injekcióhoz való fecskendőket nem szabad előkészíteni, és az injekció beadását el kell halasztani, valamint át kell ütemezni. A forgalomba hozatali engedély jogosultját azonnal értesíteni kell.

A Glybera-t személyre szabott csomagolásban szállítják, ezért pontosan a betegnek szükséges mennyiségű injekciós üveget fogja tartalmazni, amit a beteg testtömege alapján számítottak ki.

A kiszámított mennyiségű fecskendőt fel kell tölteni az injekciós üvegek felolvasztott tartalmával, fel kell címkézni, és olyan fénytől védett tartályba kell helyezni a fecskendőket, amely alkalmas az intramuscularis injekciók betegnek történő beadási helyére történő szállítására.

Az injekciós üveg dugójából származó részecskék befecskendezésének elkerülése érdekében az injekciós üvegben lévő oldat két részletben történő felszívása miatt egy tűt kell használni a felszíváshoz (és benne kell hagyni a dugóban), és külön tűt minden egyes fecskendőhöz.