



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

Riassunto destinato al pubblico

Glybera

alipogene tiparvovect

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Glybera. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Glybera.

Che cos'è Glybera?

Glybera è un medicinale contenente il principio attivo alipogene tiparvovect. È disponibile in soluzione iniettabile.

Glybera è un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato "prodotto di terapia genica", ossia un tipo di medicinale che agisce introducendo geni nell'organismo.

Per che cosa si usa Glybera?

Glybera è usato per il trattamento di adulti con deficit di lipoproteina lipasi e con gravi o ripetuti attacchi di pancreatite (infiammazione del pancreas) nonostante la dieta a ridotto contenuto di grassi.

Il deficit di lipoproteina lipasi è una malattia rara, che si osserva in pazienti con un difetto nel gene della lipoproteina lipasi, un enzima responsabile del metabolismo dei lipidi. I pazienti affetti da questa malattia devono seguire una rigorosa dieta a ridotto contenuto di grassi e sono esposti a ricorrenti attacchi di pancreatite, una complicazione grave e potenzialmente letale.

Glybera è indicato soltanto nei pazienti in cui la diagnosi è stata confermata da adeguati test genetici e sono stati riscontrati livelli dosabili dell'enzima lipoproteina lipasi nel sangue.

Poiché il numero di pazienti affetti da deficit di lipoproteina lipasi è basso, la malattia è considerata "rara" e Glybera è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 marzo 2004.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.



Come si usa Glybera?

Glybera deve essere prescritto e somministrato esclusivamente sotto il controllo di un medico esperto nel trattamento del deficit di lipoproteina lipasi e nella terapia genica.

Glybera è somministrato una sola volta attraverso una serie di iniezioni intramuscolari (nel muscolo) nella parte superiore e inferiore delle gambe. La dose di medicinale da iniettare e il numero di iniezioni dipendono dal peso del paziente. Per ulteriori informazioni sulla dose di Glybera da somministrare, vedere il riassunto delle caratteristiche del prodotto (accluso all'EPAR).

Nei tre giorni precedenti il trattamento con Glybera e nelle dodici settimane successive deve essere somministrato ai pazienti un trattamento a base di immunosoppressori, allo scopo di ridurre la reazione del sistema immunitario nei confronti del medicinale. A causa del numero di iniezioni richieste, si consiglia di effettuare l'anestesia spinale o regionale (medicinali che inducono una perdita di sensibilità in alcune parti del corpo, per bloccare il dolore).

Come agisce Glybera?

Il principio attivo di Glybera, alipogene tiparvovec, è ottenuto da un virus che è stato modificato in modo tale da poter introdurre il gene della lipasi lipoproteica nelle cellule dell'organismo. Dopo l'iniezione intramuscolare, Glybera corregge il deficit di lipoproteina lipasi consentendo alle cellule muscolari di produrre l'enzima. L'enzima prodotto da queste cellule può quindi contribuire alla metabolizzazione dei grassi nel sangue, riducendo gli attacchi di pancreatite e la gravità della malattia.

Il materiale virale modificato usato in Glybera non provoca infezioni e non può duplicarsi.

Quali studi sono stati effettuati su Glybera?

Glybera è stato esaminato in 27 pazienti con deficit di lipoproteina lipasi che seguivano una dieta povera di grassi. La maggior parte dei pazienti trattati con Glybera è stata anche sottoposta a trattamento immunosoppressivo. La principale misura di efficacia era la riduzione dei livelli ematici di lipidi dopo i pasti e del numero di attacchi di pancreatite.

Quali benefici ha mostrato Glybera nel corso degli studi?

I dati hanno evidenziato in alcuni pazienti una riduzione dei livelli ematici di lipidi dopo i pasti. È stata inoltre osservata in alcuni pazienti una riduzione del numero di attacchi di pancreatite, oltre a un minor numero di ricoveri ospedalieri e di permanenze in unità di cura intensiva. Pur essendo disponibili soltanto informazioni relative a un numero limitato di pazienti, i risultati evidenziano che Glybera potrebbe essere di beneficio ai pazienti con attacchi di pancreatite gravi o ripetuti.

Qual è il rischio associato a Glybera?

L'effetto indesiderato più comune di Glybera è dolore alle gambe dopo le iniezioni, che si è manifestato in circa un terzo dei pazienti. Altri effetti indesiderati comuni riferiti includono mal di testa, stanchezza, ipertermia (temperatura corporea elevata), contusioni e aumento dei livelli dell'enzima creatinchinasi nel sangue (una misura del danno al tessuto muscolare). È stato segnalato un caso di embolia polmonare (il blocco di un'arteria polmonare dovuto a coaguli di sangue) a distanza di sette settimane dal trattamento. Considerato il numero limitato di pazienti trattati, non è possibile delineare un quadro completo della frequenza e della natura degli effetti indesiderati di Glybera. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Glybera, vedere il foglio illustrativo.

Glybera non deve essere usato in pazienti con immunodeficienza (indebolimento del sistema immunitario), accresciuto rischio emorragico e malattie muscolari. Non devono essere usati medicinali anticoagulanti, che possono aggravare il rischio di sanguinamento, da una settimana prima dell'inizio del trattamento con Glybera fino al giorno successivo al trattamento. I pazienti inoltre non devono usare contraccettivi orali. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché è stato approvato Glybera?

Dopo un'attenta valutazione di tutte le prove e le circostanze della malattia, compresa la sua estrema rarità, il CHMP ha concluso che i risultati degli studi hanno evidenziato che i benefici di Glybera sono superiori ai suoi rischi nei pazienti con attacchi di pancreatite gravi o ripetuti, nonostante la dieta a ridotto contenuto di grassi. Questo è un sottogruppo di pazienti gravemente affetti, con un bisogno medico elevato non soddisfatto. Di conseguenza, il CHMP ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Glybera è stato autorizzato in "circostanze eccezionali", dal momento che non è possibile ottenere informazioni esaustive sul medicinale a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni eventualmente disponibili e, se necessario, questo riassunto sarà aggiornato.

Quali informazioni sono ancora attese per Glybera?

Le condizioni per il rilascio dell'autorizzazione prescrivono alla ditta l'obbligo di fornire ulteriori dati sui livelli di lipidi nel sangue dopo i pasti e sulla risposta immunitaria a Glybera nei nuovi pazienti. La ditta fornirà inoltre informazioni tratte da un registro creato per monitorare l'esito della terapia nei pazienti trattati con Glybera e aggiungerà un passaggio nella fabbricazione del prodotto per migliorarne il profilo di sicurezza.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Glybera?

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Glybera sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Glybera sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Inoltre la ditta ha messo a punto un programma di accesso limitato per garantire che Glybera sia usato correttamente, dopo la conferma della diagnosi. Il medicinale sarà fornito soltanto ai medici che hanno ricevuto materiali informativi adeguati e sarà utilizzato esclusivamente per il trattamento dei pazienti iscritti nel registro. La ditta fornirà inoltre ai pazienti e agli operatori sanitari materiale informativo, tra cui informazioni su come somministrare Glybera e su come gestire i rischi del medicinale. I pazienti riceveranno anche una specifica scheda di allerta.

Altre informazioni su Glybera

Il 25 ottobre 2012 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Glybera, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Glybera consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Glybera, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Glybera è disponibile sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 10-2015.

Medicinale non più autorizzato