

歐盟EMA於2012年7月建議核准第一例基因治療法藥物 – Glybera，提供新治療方式給因缺乏脂蛋白分解酶導致嚴重或多重胰腺炎患者

發表單位： 歐盟 EMA

摘要整理： 黃齡慧

發表時間： 2012/07/20

內容歸類： 基因治療

類別： 新聞

關鍵字： Glybera、基因療法、脂蛋白分解酶缺乏、胰腺炎

資料來源：[European Medicines Agency recommends first gene therapy for approval](http://www.ema.europa.eu/press/news/2012/07/2012072001.htm)

- 重點內容：
1. 歐盟藥物管理局人用藥品委員會(Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP)建議核准 Glybera (alipogene tiparvovec)在歐盟的上市申請，用以治療脂蛋白分解酶缺乏(LPL deficiency)的嚴重或多重胰腺炎病人。
  2. 脂蛋白分解酶缺乏為相當罕見的遺傳疾病，病患無法製造足夠的脂蛋白分解酶分解脂肪。目前治療方式為減少攝取脂肪，將病患飲食控制在低於 20%每日卡洛里攝取量，然而此方式不易實行且病患易罹患胰腺炎導致住院。
  3. Glybera利用腺病毒載體(adeno-associated virus vector)做為運送媒介，將脂蛋白分解酶基因複製體送至肌肉細胞，產生細胞內酵素。
  4. CHMP表示由於此病症罕見及對於資料的不確定性，評估此申請案會是相當複雜的過程。將會和新興醫療組(Committee for Advanced Therapies, CAT)密切合作，追蹤藥物品質、安全性及療效。
  5. 2004 年 3 月歐洲委員會指定 Glybera 為罕見疾病藥物 (designated orphan medicine)。