

Kurzbericht Arzneimittelzulassung vom 12.11.2024

Givlaari® (Wirkstoff: Givosiran)

Zulassung in der Schweiz: 29.03.2021

Injektionslösung zur Behandlung einer akuten hepatischen Porphyrie (AHP) bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren

Über das Arzneimittel

Givlaari enthält den Wirkstoff Givosiran und wird zur Behandlung einer akuten hepatischen Porphyrie bei Erwachsenen und Jugendlichen ab einem Alter von 12 Jahren angewendet.

Bei einer akuten hepatischen Porphyrie handelt es sich um eine seltene Erkrankung, die vererbbar ist. Sie wird durch einen Defekt in einem der Proteine verursacht, die für die Herstellung eines Moleküls namens «Häm» in der Leber verantwortlich sind. Dadurch kommt es zur Anreicherung einiger Substanzen, die für die Häm-Produktion verwendet werden, nämlich Aminolävulinsäure (ALA) und Porphobilinogen (PBG). Zu viel ALA und PBG kann die Nerven schädigen und schwerwiegende Attacken mit Schmerzen, Übelkeit, Muskelschwäche und Veränderungen der geistigen Leistungsfähigkeit hervorrufen. Manche Patientinnen und Patienten mit akuter hepatischer Porphyrie haben auch zwischen den Attacken Symptome wie Schmerzen und Übelkeit. Langanhaltende Komplikationen, die bei Patientinnen und Patienten mit akuter hepatischer Porphyrie beobachtet werden können, sind unter anderem Bluthochdruck sowie chronische Nieren- und Lebererkrankungen.

Givlaari senkt die Menge eines Enzyms namens ALAS1, das für die Produktion von ALA und PBG in der Leber verantwortlich ist. Je weniger ALAS1 im Körper vorhanden ist, desto weniger ALA und PBG stellt die Leber her. Somit können die Auswirkungen der Erkrankung reduziert werden.

Da es sich bei AHP um eine seltene und lebensbedrohliche Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel Givlaari als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet.

Swissmedic hat Givlaari gemäss Artikel 13 des Heilmittelgesetzes (HMG) zugelassen. Das bedeutet, dass das Arzneimittel bereits in einem anderen Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle zugelassen ist.

In diesem Fall berücksichtigt Swissmedic die Ergebnisse der von ausländischen Arzneimittelbehörden durchgeführten Prüfungen, sofern bestimmte Anforderungen erfüllt sind. Es geht um Prüfungen zur Qualität, Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels und inwieweit die Ergebnisse für die Schweiz übernommen werden können. Die Berücksichtigung der Ergebnisse ausländischer Zulassungsverfahren soll dazu beitragen, dass im Ausland bereits zugelassene

Arzneimittel den Patientinnen und Patienten in der Schweiz möglichst rasch zur Verfügung stehen.

Für die Zulassung von Givlaari in der Schweiz hat Swissmedic die Begutachtung und den Zulassungsentscheid der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA; Reference Number

EMA/62114/2020; EMEA/H/C/004775,) übernommen und lediglich eine begrenzte wissenschaftliche Begutachtung durchgeführt. Somit verweist Swissmedic im SwissPAR (Swiss Public Assessment Report) und im daraus aufbauenden Kurzbericht Arzneimittelzulassung auf den öffentlich verfügbaren Beurteilungsbericht der Referenzbehörde: www.ema.europa.eu.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal:
[Fachinformation Givlaari®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Information für Patientinnen und Patienten (Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Givlaari®](#)

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in Kurzbericht Arzneimittelzulassung ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirksamkeit oder die Sicherheit dieses Medikaments beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.