

Kurzbericht Arzneimittelzulassung vom 15.11.2024

Libmeldy® (Wirkstoff: Atidarsagene autotemcel)

Zulassung in der Schweiz: 07.12.2023

Infusionsdispersion zur Behandlung von Kindern mit metachromatischer Leukodystrophie (MLD)

Über das Arzneimittel

Libmeldy enthält den Wirkstoff Atidarsagene autotemcel.

Das Arzneimittel Libmeldy wird zur Behandlung von Kindern, die an metachromatischer Leukodystrophie (MLD) leiden, eingesetzt.

Libmeldy wird angewendet bei:

- Kindern mit im späten Säuglings- oder frühen Kindesalter auftretenden Formen der Erkrankung, die noch keine Symptome entwickelt haben
- Kindern mit im frühen Kindesalter auftretender MLD, die erste Symptome aufweisen, jedoch noch selbständig gehen können und deren geistige Fähigkeiten sich noch nicht verschlechtern haben

MLD ist eine seltene Erbkrankheit. Die Krankheit MLD ist durch eine Veränderung (Mutation) des Gens, welches für die Herstellung des Enzyms Arylsulfatase A (ARSA) benötigt wird, gekennzeichnet. ARSA wird zum Abbau bestimmter Substanzen benötigt, die als Sulfatide bezeichnet werden. Diese Gen-Veränderung führt zu einer Verringerung der enzymatischen Aktivität von ARSA. Dadurch reichern sich Sulfatide an, was zu Schädigungen des Nervensystems und anderer Organe führen kann.

Kinder, die an MLD leiden, können Schwierigkeiten beim Laufen haben und der Gendefekt kann einen allmählichen Abbau der geistigen Fähigkeiten verursachen, was schliesslich zum Tod führen kann.

Da es sich bei der Krankheit MLD um eine seltene und lebensbedrohende Erkrankung handelt, wurde das Arzneimittel Libmeldy als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet.

Swissmedic hat Libmeldy 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 Libmeldy in der Schweiz hat Swissmedic die Begutachtung und den Zulassungsentscheid der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA; Reference Number EMA/584450/2020) 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

Zum Zeitpunkt der Publikation Kurzbericht Arzneimittelzulassung sind die Fachinformation sowie die Patientinnen- und Patienteninformation (Packungsbeilage) noch nicht verfügbar. Sobald das Arzneimittel in der

Schweiz erhältlich ist, werden die Fach- und Patientinnen- und Patienteninformation auf folgender Seite im Internet zur Verfügung gestellt: www.swissmedicinfo.ch

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den 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 Arzneimittels beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.