



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/59047/2014
EMA/H/C/000636

EPAR – sammendrag for offentligheden

Myozyme

alglucosidase alfa

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Myozyme. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om anvendelsesbetingelserne for Myozyme.

Hvad er Myozyme?

Myozyme er et pulver, der blandes til en opløsning til infusion (drop i en vene). Det indeholder det aktive stof alglucosidase alfa.

Hvad anvendes Myozyme til?

Myozyme anvendes til behandling af patienter, som har Pompes sygdom, en sjælden arvelig lidelse. Patienter med Pompes sygdom danner ikke tilstrækkeligt af et enzym kaldet alpha-glucosidase. Dette enzym nedbryder normalt sukker, der er aflejret som glykogen, til glukose, der kan anvendes til energi af kroppens celler. Hvis enzymet mangler, akkumuleres der glykogen i visse væv, navnlig musklerne, inklusive hjerte og diafragma (den vigtigste vejtrækningsmuskul under lungerne). Den progressive ophobning af glykogen giver en lang række symptomer, herunder forstørret hjerte, åndedrætsbesvær og muskelslaphed. Sygdommen kan vise sig ved fødslen (med "debut i spædbørnsalderen"), men kan også vise sig senere i livet (i en "sent debuterende" form).

Da antallet af patienter med Pompes sygdom er lavt, anses sygdommen for at være "sjælden", og Myozyme blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 14. februar 2001.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.



Hvordan anvendes Myozyme?

Behandling med Myozyme skal overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med Pompes sygdom eller andre arvelige sygdomme af samme type.

Myozyme gives som en infusion i form af 20 mg pr. kg kropsvægt én gang hver anden uge. Startinfusionen skal være langsom, derefter øges hastigheden gradvist, så længe der ikke er tegn på bivirkninger forårsaget af infusionen.

Hvordan virker Myozyme?

Myozyme er en enzymsubstitutionsbehandling. Enzymsubstitutionsbehandling giver patienterne det enzym, de mangler, i dette tilfælde alpha-glucosidase. Det aktive stof i Myozyme, alglucosidase alfa, er en kopi af humant alpha-glucosidase, som fremstilles via en metode, der er kendt som "rekombinant dna-teknologi": Enzymet er fremstillet af en celle, som har modtaget et gen (dna), som sætter cellen i stand til at producere enzymet. Substitutionsenzymet medvirker til at nedbryde glykogen og forhindrer derved abnorm ophobning i cellerne.

Hvordan blev Myozyme undersøgt?

Myozyme blev undersøgt i to hovedundersøgelser af i alt 39 spædbørn og børn op til tre og et halvt år med Pompes sygdom med debut i spædbørnsalderen. Disse patienter blev sammenlignet med en "historisk sammenligningsgruppe" af spædbørn og små børn med Pompes sygdom, som ikke havde modtaget behandling og ikke deltog i undersøgelserne. Det primære effektmål var antallet af patienter, som overlevede, og antallet, som ikke havde behov for en ventilator som hjælp til vejrtrækning.

Myozyme blev også sammenlignet med placebo (en virkningsløs behandling) i en hovedundersøgelse, der omfattede 90 patienter med sent debuterende sygdom. Det primære effektmål var forbedringen i den afstand, patienterne kunne gå på seks minutter, og forbedringen i deres "forcedede vitalkapacitet" (et mål for, hvor godt deres lunger fungerede). Undersøgelsen varede op til 18 måneder.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Myozyme?

I den første hovedundersøgelse, som omfattede spædbørn under seks måneder, var alle 18 patienter behandlet med Myozyme i live ved 18-månedersalderen, og 15 af disse havde ikke behov for en ventilator som hjælp til vejrtrækning. I modsætning hertil var der kun en af de 42 patienter i den historiske sammenligningsgruppe, som var i live ved 18-månedersalderen. Resultaterne blev bekræftet i den anden undersøgelse, som omfattede børn i alderen mellem seks måneder og tre og et halvt år.

Ved sent debuterende sygdom var Myozyme mere effektivt end placebo til forbedring af såvel distancen, patienterne kunne gå, som deres lungefunktion i løbet af undersøgelsen.

Hvilke risici er der forbundet med Myozyme?

I løbet af undersøgelserne var de hyppigste bivirkninger ved Myozyme, der blev iagttaget hos patienter med Pompes sygdom med debut i spædbørnsalderen (som optræder hos flere end 1 ud af 10 patienter), takykardi (hjerterbanken), rødme, hoste, takypnø (hurtig vejrtrækning), opkastning, nældefeber, udslæt, pyreksi (feber) og faldende iltmætning (lav iltmængde i blodet). I undersøgelsen af sen sygdomsdebut havde patienterne mange af de samme bivirkninger, men de forekom mindre hyppigt end i undersøgelserne af patienter med debut i spædbørnsalderen. Næsten alle bivirkningerne ved Myozyme optrådte under eller lige efter infusionen og var milde til moderate. Den fuldstændige liste over alle de indberettede bivirkninger ved Myozyme fremgår af indlægssedlen.

Patienter, som får Myozyme, kan udvikle antistoffer (proteiner, der dannes som reaktion mod Myozyme). Disse antistoffers effekt på Myozymes sikkerhed og virkning er endnu ikke klarlagt.

Myozyme må ikke anvendes til personer, der har haft en livstruende anafylaktisk (svært allergisk) reaktion over for alglucosidase alfa eller andre af indholdsstofferne, som ikke kunne holdes under kontrol ved at give lægemidlet i en langsommere infusionsrate og nedsat dosis.

Hvorfor blev Myozyme godkendt?

CHMP besluttede, at fordelene ved Myozyme er større end risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse for Myozyme.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri anvendelse af Myozyme?

Virksomheden, der fremstiller Myozyme, er ved at indføre en plan, som skal sikre, at Myozyme anvendes sikkert, navnlig ved at overvåge, hvordan patienter, som modtager Myozyme, kan udvikle antistoffer, og føre et register over alle patienter med Pompes sygdom og ved at påse, at læger har kendskab til de reaktioner, patienter kan få ved infusion.

Andre oplysninger om Myozyme:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Myozyme til Genzyme Europe B.V. den 29. marts 2006. Markedsføringstilladelsen er gyldig på ubegrænset tid.

Den fuldstændige EPAR for Myozyme findes på agenturets websted under [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Myozyme, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme for Myozyme findes på agenturets websted under [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 01-2014.