



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/31154/2011  
EMEA/H/C/000636

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

# Myozyme

## alfa-α-glükózidáz

Ez a dokumentum a Myozyme-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Myozyme alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

### Milyen típusú gyógyszer a Myozyme?

A Myozyme por oldatos infúzió készítéséhez. A gyógyszer hatóanyagként alfa-α-glükózidázt tartalmaz.

### Milyen betegségek esetén alkalmazható a Myozyme?

A Myozyme-et Pompe-kórban, egy ritka örökletes betegségben szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák. A Pompe-betegségben szenvedő betegek szervezetében nincsen elegendő mennyiségű alfa-α-glükózidáz enzim. Normál körülmények között ez az enzim végzi a glikogénként tárolt cukor glükózzá történő lebontását, amit a szervezet sejtjei energiaforrásként hasznosítanak. Ha az enzim hiányzik, a glikogén felszaporodik bizonyos szövetekben, különösen az izomszövetekben, ideértve a szívet és a rekeszizmot (a tüdő alatt elhelyezkedő fő légző izmot) is. A glikogén progresszív felhalmozódása sokféle panaszt okoz, ideértve a szív megnagyobbodását, a légzési nehézségeket és az izomgyengeséget. A betegség kialakulhat csecsemőkorban („csecsemőkorban kialakuló forma”), illetve az élet későbbi szakaszában is („késői megjelenésű forma”).

Mivel a Pompe-betegségben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Myozyme 2001. február 14-én megkapta a „ritka betegség gyógyszere” minősítést.

A gyógyszer csak receptre kapható.

### Hogyan kell alkalmazni a Myozyme-et?

A Myozyme-kezelést a Pompe-betegség vagy más, hasonló típusú örökletes betegség kezelésében jártas orvosnak kell felügyelnie.



A Myozyme-et kéthetente egyszer, 20 mg/ttkg dózisú infúzió formájában alkalmazzák. Az infúziót lassan kell kezdeni, majd sebességét fokozatosan lehet növelni, mindaddig, amíg az infúzió nem okoz mellékhatásokat.

## **Hogyan fejti ki hatását a Myozyme?**

A Myozyme egy enzimpótló terápia. Az enzimpótló terápia ellátja a beteget a hiányzó enzimmel, ebben az esetben az alfa-glükózidázzal. A Myozyme hatóanyaga, az alfa- $\alpha$ -glükózidáz, a humán alfa-glükózidáz másolata, amelyet egy „rekombináns DNS technológia” néven ismert módszerrel állítanak elő: az enzimet egy olyan sejt termeli, amelyet az enzim előállítására képessé tevő génnel (DNS) láttak el. A helyettesítő enzim segíti a glikogén lebontását és megakadályozza annak abnormális felszaporodását a sejtekben.

## **Milyen módszerekkel vizsgálták a Myozyme-et?**

A Myozyme-et két fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyekbe összesen 39, csecsemőkorban kialakuló Pompe-betegségben szenvedő csecsemőt és három és fél évesnél nem idősebb gyermeket vontak be. A betegeket olyan, Pompe-betegségben szenvedő csecsemők és kisgyermek „hisztorikus összehasonlító csoportjával” hasonlították össze, akiket korábban nem kezeltek, és akik a vizsgálatokban nem vettek részt. A hatásosság fő mértéke a túlélők és azon betegek száma volt, akiknek nem volt szüksége lélegeztetésre.

A Myozyme-et egy fő vizsgálatban placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) is összehasonlították, amelyben 90, a betegség késői megjelenésű formájában szenvedő beteg vett részt. A hatásosság fő mértéke azon távolság növekedésének aránya volt, amelyet a betegek hat perc alatt le tudtak gyalogolni, valamint a „terheléses kilégzési vitálkapacitás” (tüdejük működésének mértéke) javulása volt. A vizsgálat legfeljebb 18 hónapig tartott.

## **Milyen előnyei voltak a Myozyme alkalmazásának a vizsgálatok során?**

A hat hónapnál fiatalabb csecsemők bevonásával végzett, első fő vizsgálatban a Myozyme-mel kezelt 18 beteg mindegyike életben volt 18 hónapos korában, és ezen betegek közül 15-nek lélegeztetésre sem volt szüksége. Ezzel szemben, a hisztorikus összehasonlító csoportban 42-ből csupán 1 beteg élte meg a 18 hónapos kort. Az eredményeket megerősítette a másik vizsgálat, amelyben hat hónap és három és fél év közötti gyermekek vettek részt.

A késői megjelenésű betegség esetében a Myozyme hatékonyabbnak bizonyult a placebónál a vizsgálat alatt annak a távolságnak a növelésében, amelyet a betegek le tudtak gyalogolni, illetve a betegek tüdőfunkciójának javításában.

## **Milyen kockázatokkal jár a Myozyme alkalmazása?**

A csecsemőkorban kialakuló Pompe-betegségben szenvedő betegekre irányuló vizsgálatok során a Myozyme alkalmazásával kapcsolatban leggyakrabban (10 beteg közül több mint 1-nél) jelentkező mellékhatások a tachikardia (gyors szívverés), arcpír, köhögés, tachypnoea (gyors légzés), hányás, urtikária (csalánkiütés), kiütés, láz, valamint csökkent oxigén szaturáció (alacsony oxigénszint a vérben) voltak. A késői megjelenésű betegségre vonatkozó vizsgálatban a betegeknél nagyrészt ugyanezen mellékhatások jelentkeztek, azonban ritkábban, mint a csecsemőkorban kialakuló betegségre irányuló vizsgálatokban. A Myozyme csaknem valamennyi mellékhatása enyhe vagy mérsékelten súlyos volt, és az infúzió beadásakor vagy rögtön utána jelentkezett. A Myozyme használatával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban!

A Myozyme-mel kezelt betegeknél antitestek (a Myozyme-re válaszként képződő fehérjék) termelődhetnek. Az antitesteknek a Myozyme biztonságosságára és hatékonyságára gyakorolt hatása még nem teljesen ismert.

A Myozyme nem alkalmazható olyan személyek esetében, akiknél életveszélyes anafilaktikus (súlyos allergiás) reakció alakult ki az alfa-1-glikozidázal vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben, amelyet nem lehetett kontrollálni a gyógyszer lassabb infúzióban és alacsonyabb dózisban történő alkalmazásával.

### **Miért engedélyezték a Myozyme forgalomba hozatalát?**

A CHMP megállapította, hogy a Myozyme alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

### **Milyen intézkedéseket hoztak a Myozyme biztonságos használatának biztosítása céljából?**

A Myozyme-et gyártó vállalatnál folyamatban van egy, a Myozyme biztonságos használatát szavatoló terv megvalósítása, melynek során azt figyelik meg, hogy a Myozyme-mel kezelt betegek szervezetében termelődnek-e antitestek, mégpedig úgy, hogy nyilvántartást készítenek az összes Pompe-betegségben szenvedő betegről, és biztosítják, hogy az orvosok tisztában legyenek az infúzió által a betegeknél kiváltott reakciókkal.

### **A Myozyme-mel kapcsolatos egyéb információ:**

2006. március 29-én az Európai Bizottság a Genzyme Europe B.V részére a Myozyme-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A forgalomba hozatali engedély korlátlan ideig érvényes.

A Myozyme-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Amennyiben a Myozyme-vel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Myozyme-re vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 01-2014.