



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai**

---

# Myozyme

## alfa alglukozidāze

Šis dokuments ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Myozyme*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu reģistrācijas apliecības piešķiršanas atzinumu un ieteikumus par *Myozyme* lietošanu.

### **Kas ir *Myozyme*?**

*Myozyme* ir pulveris, no kura gatavo šķīdumu infūzijai (ievadīšanai vēnā pa pilienam). Tas satur aktīvo vielu alfa alglukozidāzi.

### **Kāpēc lieto *Myozyme*?**

*Myozyme* lieto retas iedzimtas slimības – Pompes slimības – pacientu ārstēšanai. Pacienti, kas slimo ar Pompes slimību, trūkst fermenta, ko sauc par alfa glikozidāzi. Šis ferments noārda cukura rezerves, kas organismā ir glikogēna veidā, pārvēršot to glikozē, kuru organisma šūnas var izmantot kā enerģijas avotu. Trūkstot šim fermentam, dažos audos, īpaši muskuļos, tostarp sirdī un diafragmā (galvenajā elpošanas muskulī, kas atrodas zem plaušām), uzkrājas glikogēns. Pakāpeniskā glikogēna uzkrāšanās rada dažādus simptomus, piemēram, palielinās sirds izmēri, ir apgrūtināta elpošana un muskuļu vājums. Šī slimība var attīstīties tūlīt pēc dzimšanas („zīdaiņa vecuma” forma) vai arī vēlākā dzīves posmā („vēlīnā” forma).

Tā kā Pompes slimības pacientu skaits ir mazs, slimību uzskata par retu, un 2001. gada 14. februārī *Myozyme* apstiprināja kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

### **Kā lieto *Myozyme*?**

*Myozyme* lietošana ir jāuzrauga ārstam, kam ir pieredze Pompes slimības vai citu tāda paša veida iedzimtu slimību ārstēšanā.



*Myozyme* ievada infūzijas veidā, zāļu deva ir 20 mg uz 1 ķermeņa svara kilogramu vienu reizi divās nedēļās. Infūzija jāsāk lēni, pēc tam pakāpeniski paātrinot, ja nenovēro infūzijas izraisītas blakusparādības.

## **Kā *Myozyme* darbojas?**

*Myozyme* ir fermenta aizstāšanas terapijas zāles. Fermentu aizstāšanas terapija nodrošina pacientus ar trūkstošo fermentu; šajā gadījumā tā ir alfa glikozidāze. *Myozyme* aktīvā viela alfa alglglikozidāze ir cilvēka fermenta alfa-glikozidāzes kopija, ko iegūst ar tā dēvēto "rekombinanto DNS tehnoloģiju": šo fermentu ražo šūnas, kurās ir ievadīts gēns (DNS), kas nodrošina šā fermenta sintēzi. Fermenta aizstājējs palīdz noārdīt glikogēnu un aptur tā pārmērīgu uzkrāšanos šūnās.

## **Kā noritēja *Myozyme* izpēte?**

*Myozyme* novērtēja divos pamatpētījumos, tajos iekļaujot kopumā 39 zīdaiņus un bērnus līdz trīsarpus gadu vecumam ar „zīdaiņa vecuma” Pompes slimības formu. Šos pacientus salīdzināja ar „vēsturiskā salīdzinājuma grupu” – ar Pompes slimību saslimušiem zīdaiņiem un maziem bērniem, kuri nebija ārstēti un nebija iekļauti pētījumos. Efektivitātes pamatrādītāji bija izdzīvojušo pacientu skaits un to pacientu skaits, kuriem elpošanas atvieglošanai nebija nepieciešamas elpināšanas ierīces.

Turklāt *Myozyme* salīdzināja ar placebo (fiktīvu ārstēšanu) vienā pamatpētījumā, tajā iekļaujot 90 pacientus ar slimības vēlīno formu. Efektivitātes pamatrādītāji bija sešās minūtēs pacientu noietā attāluma palielināšanās un viņiem noteiktā „forsētā vitālā kapacitāte” (plaušu darbības rādītājs). Šā pētījuma ilgums nepārsniedza 18 mēnešus.

## **Kāds ir *Myozyme* iedarbīgums šajos pētījumos?**

Pirmajā pamatpētījumā, kurā iekļāva zīdaiņus līdz sešu mēnešu vecumam, visi 18 pacienti, kurus ārstēja ar *Myozyme*, 18 mēnešu vecumā bija dzīvi, un 15 no viņiem nebija nepieciešama elpināšanas ierīce, lai atvieglotu elpošanu. Turpretī vēsturiskā salīdzinājuma grupā 18 mēnešu vecumu sasniedza tikai viens no 42 pacientiem. Šie rezultāti tika apstiprināti otrajā pētījumā, kurā iekļāva bērnus vecumā no sešiem mēnešiem līdz trīsarpus gadiem.

Slimības vēlīnās formas pacientiem *Myozyme* bija efektīvākas par placebo, pētījuma gaitā uzlabojot gan pacientu noietā attāluma, gan plaušu darbības rādītājus.

## **Kāds pastāv risks, lietojot *Myozyme*?**

Pētījumos ar pacientiem, kam bija Pompes slimības zīdaiņa vecuma forma, visbiežāk novērotās *Myozyme* blakusparādības (vairāk nekā vienam pacientam no desmit) bija tahikardija (paātrināta sirdsdarbība), sejas piesārtums, klepus, tahipnoja (paātrināta elpošana), vemšana, nātrene (niezoši izsitumi), izsitumi, hipertermija un pazemināts piesātinājums ar skābekli (zems skābekļa līmenis asinīs). Pētījumā ar pacientiem, kam bija slimības vēlīnā forma, novēroja daudzas tādas pašas blakusparādības, bet tās izpaudās retāk nekā slimības zīdaiņa vecuma formas pētījumos. Gandrīz visas *Myozyme* blakusparādības novēroja infūzijas laikā vai uzreiz pēc tās, un tās bija vāji vai vidēji izteiktas. Pilns visu *Myozyme* izraisīto blakusparādību apraksts ir atrodams zāļu lietošanas pamācībā.

Pacientiem, kuriem ievada *Myozyme*, var veidoties antivielas (proteīni, kas tiek sintezēti, reaģējot uz *Myozyme*). Šo antivielu ietekme uz *Myozyme* nekaitīgumu un efektivitāti vēl nav noskaidrota.

*Myozyme* nedrīkst lietot cilvēki, kam ir bijusi dzīvībai bīstama anafilaktiska reakcija (smaga alerģiska reakcija) uz alfa alglglikozidāzi vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu, un šī reakcija nebija kontrolējama, samazinot infūzijas ātrumu vai pazeminot devu.

## **Kāpēc *Myozyme* tika apstiprinātas?**

CHMP nolēma, ka pacienta ieguvums, lietojot *Myozyme*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

## **Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu *Myozyme* lietošanu?**

Uzņēmums, kas ražo *Myozyme*, izstrādā plānu, kā nodrošināt *Myozyme* lietošanas nekaitīgumu, galvenokārt uzraugot, kā veidojas antivielas pacientiem, kuri saņem *Myozyme*, ieviešot visaptverošu Pompes slimības pacientu reģistru, kā arī panākot ārstu informētību par iespējamo reakciju pacientiem, kuriem veic infūziju.

## **Cita informācija par *Myozyme*.**

Eiropas Komisija 2006. gada 29. martā izsniedza *Myozyme* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā, uzņēmumam *Genzyme Europe B. V.* Reģistrācijas apliecības derīguma termiņš nav ierobežots.

Pilns *Myozyme* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Myozyme* pieejama zāļu lietošanas pamācībā (kas arī ir daļa no EPAR) vai iegūstama, sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Myozyme* ir pieejams aģentūras tīmekļa vietnē [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 01./2014.