



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Myozyme

alglucosidase alfa

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Myozyme. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Myozyme vast te stellen.

Wat is Myozyme?

Myozyme is een poeder waarmee een oplossing voor infusie (langzame indruppeling in een ader) wordt gemaakt. Het bevat de werkzame stof alglucosidase alfa.

Wanneer wordt Myozyme voorgeschreven?

Myozyme wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe, een zeldzame erfelijke aandoening. Mensen die aan deze ziekte lijden hebben een tekort aan het enzym alfa-glucosidase. Normaal gezien zet dit enzym als glycogeen opgeslagen suiker om in glucose die door de lichaamscellen kan worden gebruikt voor energie. Als het enzym ontbreekt, hoopt glycogeen zich op in bepaalde weefsels, vooral in de spieren, waaronder het hart en het diafragma (de belangrijkste ademhalingsspier onder de longen). De gestage ophoping van glycogeen veroorzaakt uiteenlopende symptomen, zoals een vergroot hart, ademhalingsmoeilijkheden en spierzwakte. De ziekte kan zich bij de geboorte manifesteren (de infantiele vorm), maar ook later in het leven (de late vorm). Aangezien het aantal patiënten met de ziekte van Pompe klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd, en werd Myozyme op 14 februari 2001 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten).

Het middel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.



Hoe wordt Myozyme gebruikt?

Een behandeling met Myozyme moet onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe of andere erfelijke ziekten van hetzelfde type.

Myozyme wordt eenmaal in de twee weken toegediend als een infusie van 20 mg/kg lichaamsgewicht. De snelheid van de infusie moet in het begin laag liggen en dan geleidelijk worden opgevoerd zolang er geen tekenen zijn van bijwerkingen door de infusie.

Hoe werkt Myozyme?

Myozyme is een enzymsubstitutietherapie. Dat wil zeggen dat patiënten het hun ontbrekende enzym, in dit geval alfa-glucosidase, krijgen toegediend. Alglucosidase alfa, de werkzame stof in Myozyme, is een kopie van menselijk alfa-glucosidase, die wordt vervaardigd met behulp van een methode die bekendstaat als 'recombinant-DNA-techniek' en wel door een cel waarin een gen (DNA) is ingebracht, zodat het enzym kan worden aangemaakt. Het vervangingsenzym helpt glycogeen af te breken en houdt de abnormale ophoping ervan in de cellen tegen.

Hoe is Myozyme onderzocht?

Myozyme is onderzocht in twee hoofdstudies waarbij in totaal 39 baby's en kinderen tot drieënhalf jaar met de infantiele vorm van de ziekte van Pompe betrokken waren. Deze patiëntjes werden vergeleken met een 'historische vergelijkingsgroep' van baby's en jonge kinderen met de ziekte van Pompe die geen behandeling hadden gekregen en niet aan de studies deelnamen. De voornaamste maatstaven voor de werkzaamheid waren het aantal patiënten dat in leven bleef en het aantal dat geen beademing nodig had.

Myozyme werd ook vergeleken met een placebo (schijnbehandeling) in één hoofdstudie waarbij 90 patiënten met de late vorm van de ziekte betrokken waren. De voornaamste maatstaven voor de werkzaamheid waren de verbetering in de afstand die de patiënten in zes minuten te voet konden afleggen en de verbetering in hun 'geforceerde vitale capaciteit' (een maatstaf voor het functioneren van de longen). De studie liep over een periode van achttien maanden.

Welke voordelen bleek Myozyme tijdens de studies te hebben?

In het eerste hoofdonderzoek met zuigelingen tot zes maanden oud waren alle achttien met Myozyme behandelde patiëntjes met achttien maanden nog in leven en vijftien van hen hadden geen beademing nodig. Daarentegen was van de 42 patiënten in de historische vergelijkingsgroep nog maar één kind op de leeftijd van achttien maanden in leven. De resultaten werden bevestigd in de tweede studie, waarbij kinderen van zes maanden tot drieënhalf jaar betrokken waren.

In het geval van de late vorm van de ziekte was Myozyme werkzamer dan de placebo, zowel ter verbetering van de afstand die de patiënten te voet konden afleggen als ter verbetering van hun longfunctie in de loop van de studie.

Welke risico's houdt het gebruik van Myozyme in?

In de studies met patiënten met de infantiele vorm van de ziekte van Pompe waren de meest voorkomende bijwerkingen van Myozyme (waargenomen bij meer dan 1 op de 10 patiënten) tachycardie (snelle hartslag), blozen, hoesten, tachypnoe (versnelde ademhaling), braken, urticaria (jeukende huiduitslag), uitslag, koorts en verminderde zuurstofverzadiging (laag zuurstofgehalte in het bloed). In de studie naar de late vorm van de ziekte hadden de patiënten veelal dezelfde bijwerkingen

maar deze werden minder vaak waargenomen dan in de studies naar de infantiele vorm. Bijna alle bijwerkingen van Myozyme deden zich voor tijdens of onmiddellijk na de infusie en waren licht of matig van ernst. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Myozyme.

Patiënten die Myozyme krijgen toegediend, kunnen antilichamen ontwikkelen (eiwitten die worden geproduceerd als reactie op Myozyme). Het effect hiervan op de veiligheid en werkzaamheid van Myozyme is nog niet duidelijk.

Myozyme mag niet worden gebruikt bij mensen die een levensbedreigende anafylactische (ernstige allergische) reactie op alglucosidase alfa of enig ander bestanddeel van het middel hebben gehad, die niet onder controle kon worden gekregen door een lagere infusiesnelheid of een lagere dosis.

Waarom is Myozyme goedgekeurd?

Het CHMP heeft geconcludeerd dat de voordelen van Myozyme groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van dit middel.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig gebruik van Myozyme te waarborgen?

De firma die Myozyme vervaardigt, treft momenteel maatregelen om ervoor te zorgen dat Myozyme veilig wordt gebruikt, hoofdzakelijk door nauwlettend te volgen op welke wijze patiënten die Myozyme toegediend krijgen antilichamen ontwikkelen, door een register aan te leggen dat openstaat voor alle Pompe-patiënten en door te waarborgen dat artsen op de hoogte zijn van de mogelijke infusiereacties.

Overige informatie over Myozyme:

De Europese Commissie heeft op 29 maart 2006 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Myozyme verleend aan Genzyme Europe B.V. De handelsvergunning is geldig voor onbepaalde duur.

Zie voor het volledige EPAR voor Myozyme de website van het Geneesmiddelenbureau onder: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker, als u meer informatie nodig hebt over de behandeling met Myozyme.

Zie voor de samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen inzake Myozyme de website van het Geneesmiddelenbureau onder: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 01-2014.