



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

# Myozyme

## alglucosidase alfa

Este documento é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Myozyme. O seu objectivo é explicar o modo como o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) avaliou o medicamento a fim de emitir um parecer favorável à concessão de uma autorização de introdução no mercado, bem como as suas recomendações sobre as condições de utilização do Myozyme.

### O que é o Myozyme?

O Myozyme é um pó para preparação de uma solução para perfusão (administração gota-a-gota numa veia). O Myozyme contém a substância activa alglucosidase alfa.

### Para que é utilizado o Myozyme?

O Myozyme é utilizado no tratamento de doentes com doença de Pompe, uma doença hereditária rara. As pessoas com doença de Pompe não possuem a enzima alfa-glucosidase em quantidade suficiente. Normalmente, esta enzima converte o açúcar armazenado sob a forma de glicogénio em glucose que pode ser utilizada pelas células do organismo. Uma deficiência desta enzima leva a uma acumulação do glicogénio em vários tecidos, especialmente nos músculos, incluindo o coração e o diafragma (o músculo respiratório principal por baixo dos pulmões). A acumulação progressiva de glicogénio resulta no desenvolvimento de uma vasta gama de sintomas, incluindo aumento do tamanho do coração, dificuldades de respiração e flacidez muscular. A doença pode manifestar-se logo após o nascimento (manifestação infantil da doença) ou mais tarde (manifestação tardia). Dado o número de doentes afectados por esta doença ser reduzido, esta doença é considerada "rara", pelo que o Myozyme foi considerado "medicamento órfão" (medicamento utilizado em doenças raras) em 14 de Fevereiro de 2001.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.



## **Como se utiliza o Myozyme?**

O tratamento com Myozyme deve ser efectuado sob a supervisão de um médico com experiência no tratamento de doentes com a doença de Pompe ou outras doenças hereditárias do mesmo tipo.

O Myozyme é administrado sob a forma de uma perfusão intravenosa de 20 mg por quilograma de peso corporal, de duas em duas semanas. A perfusão deve ser inicialmente administrada num ritmo lento, que deve ser gradualmente aumentado, desde que não haja sinais de efeitos secundários causados pela perfusão.

## **Como funciona o Myozyme?**

O Myozyme é uma terapêutica de substituição enzimática. A terapêutica de substituição enzimática permite restabelecer o nível de actividade enzimática do doente, neste caso, o nível de actividade da enzima alfa-glucosidase. A substância activa do Myozyme, a alfa-glucosidase, é uma cópia desta enzima, produzida através de um método conhecido como "tecnologia de ADN recombinante": A enzima é fabricada por uma célula que recebeu um gene (ADN) que a torna capaz de produzir a enzima. A enzima de substituição ajuda a degradar o glicogénio, deixando este de se depositar anormalmente nas células.

## **Como foi estudado o Myozyme?**

O Myozyme foi estudado em dois estudos principais que incluíram um total de 39 bebés e crianças até aos três anos e meio de idade com a manifestação infantil da doença de Pompe. Estes doentes foram comparados com um "grupo de doentes de comparação histórica", composto por bebés e crianças de pouca idade com a doença de Pompe que não receberam tratamento e não foram incluídos nos estudos. Os principais parâmetros de eficácia foram o número de doentes que sobreviveram e o número de doentes que não necessitaram de um ventilador para auxiliar a respiração.

O Myozyme foi também comparado com um placebo (tratamento simulado) num estudo principal que incluiu 90 doentes com a manifestação tardia da doença. Os principais parâmetros de eficácia foram o aumento na distância que os doentes eram capazes de percorrer a pé durante seis minutos e a "capacidade vital forçada" (que permite avaliar o funcionamento dos pulmões). O estudo teve a duração de 18 meses.

## **Qual o benefício demonstrado pelo Myozyme durante os estudos?**

No primeiro estudo que incluiu bebés com menos de seis meses de idade, a totalidade dos 18 doentes tratados com Myozyme encontrava-se com vida aos 18 meses, e 15 destes 18 doentes não precisavam de ventilador para poderem respirar. Pelo contrário, dos 42 doentes no grupo de comparação histórica, apenas um se encontrava com vida aos 18 meses de idade. Os resultados foram confirmados no outro estudo que incluiu crianças entre os seis meses e os três anos e meio de idade.

No estudo em doentes com a manifestação tardia da doença, o Myozyme foi mais eficaz do que o placebo no que se refere tanto ao aumento da distância que os doentes eram capazes de percorrer a pé como à capacidade da sua função pulmonar durante o estudo.

## **Qual é o risco associado ao Myozyme?**

Durante os estudos em doentes com a manifestação infantil da doença, os efeitos secundários mais frequentes associados ao Myozyme (observados em mais de 1 em cada 10 doentes) foram taquicardia (batimentos cardíacos rápidos), rubor (vermelhidão), tosse, taquipneia (aumento da frequência

respiratória), vômitos, urticária (prurido), erupção cutânea, pirexia (febre) e diminuição da saturação em oxigénio (níveis baixos de oxigénio no sangue). No estudo em doentes com a manifestação tardia da doença, observaram-se muitos destes efeitos secundários, mas com uma frequência menor do que nos estudos em doentes com a manifestação infantil da doença. Praticamente todos os efeitos secundários associados ao Myozyme ocorreram durante ou logo após a perfusão e foram ligeiros ou moderados. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Myozyme, consulte o Folheto Informativo.

Os doentes que recebem o Myozyme podem desenvolver anticorpos (proteínas produzidas em resposta ao Myozyme). Os efeitos destes anticorpos sobre a segurança e eficácia do Myozyme não estão ainda esclarecidos.

O Myozyme não deve ser utilizado em pessoas que tenham registado uma reacção anafilática (reacção alérgica grave) potencialmente fatal à alglucosidase alfa ou a qualquer outro componente do medicamento, quando não tenha sido possível debelar a mesma administrando o medicamento a um ritmo mais lento e numa dose mais reduzida.

### **Por que foi aprovado o Myozyme?**

O CHMP concluiu que os benefícios do Myozyme são superiores aos seus riscos e recomendou a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o medicamento.

### **Que medidas estão a ser adoptadas para garantir a utilização segura do Myozyme?**

A empresa que fabrica o Myozyme está a implementar um plano para garantir a utilização segura do Myozyme, que consiste essencialmente na monitorização de como os doentes que recebem o Myozyme podem desenvolver anticorpos, na criação de um registo das pessoas que sofrem de doença de Pompe e em diligências para que os médicos conheçam as reacções à perfusão.

### **Outras informações sobre o Myozyme**

Em 29 de Março de 2006, a Comissão Europeia concedeu à Genzyme Europe B.V. uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Myozyme. A Autorização de Introdução no Mercado é válida por um período de tempo ilimitado.

O EPAR completo sobre o Myozyme pode ser consultado no sítio web da EMA em [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Myozyme, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Myozyme pode ser consultado no sítio Web da EMA em [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

Este resumo foi actualizado pela última vez em 01-2014.