



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Rezumat EPAR destinat publicului

---

# Myozyme

## alglucozidază alfa

Prezentul document este un rezumat al Raportului european public de evaluare (EPAR) pentru Myozyme. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Myozyme.

### Ce este Myozyme?

Myozyme este o pulbere din care se prepară o soluție pentru perfuzie (picurare în venă). Conține substanța activă alglucozidază alfa.

### Pentru ce se utilizează Myozyme?

Myozyme se utilizează pentru tratarea pacienților cu boala Pompe, o afecțiune ereditară rară. Pacienții cu boala Pompe nu au în cantitate suficientă o enzimă numită alfa-glucozidază. Această enzimă, în mod normal, transformă în glucoză zahărul depozitat sub formă de glicogen, care poate fi utilizată de celulele organismului pentru producerea de energie. Dacă această enzimă lipsește, glicogenul se acumulează în anumite țesuturi, în special în mușchi, inclusiv la nivelul inimii și al diafragmei (principalul mușchi respirator situat sub plămâni). Acumularea progresivă de glicogen cauzează o mare varietate de simptome, inclusiv inimă mărită, dificultăți respiratorii și slăbiciune musculară. Boala poate apărea la naștere (forma de „debut infantil”), dar și mai târziu pe parcursul vieții (forma de „debut tardiv”).

Deoarece numărul pacienților cu boala Pompe este scăzut, boala este considerată „rară”, iar Myozyme a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rar întâlnite) la 14 februarie 2001.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.



## Cum se utilizează Myozyme?

Tratamentul cu Myozyme trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratarea pacienților cu boala Pompe sau cu alte boli metabolice ereditare de același tip.

Myozyme se administrează sub formă de perfuzie în doză de 20 mg per kilogram de greutate corporală, administrată o dată la două săptămâni. Perfuzia trebuie începută într-un ritm lent, care trebuie apoi mărit treptat, dacă nu există semne de efecte secundare cauzate de perfuzie.

## Cum acționează Myozyme?

Myozyme este o terapie de substituție enzimatică. Terapia de substituție enzimatică asigură pacienților enzima deficitară, în cazul de față, alfa-glucozidază. Substanța activă conținută de Myozyme, alglucozidaza alfa, este o copie a enzimei umane alfa-glucozidază, care este produsă printr-o metodă cunoscută sub denumirea de „tehnologia ADN-ului recombinant”: enzima este obținută dintr-o celulă care a primit o genă (ADN), care o face capabilă să producă enzima. Enzima de substituție ajută la descompunerea glicogenului și împiedică acumularea anormală a acestuia în celule.

## Cum a fost studiat Myozyme?

Myozyme a fost studiat în cadrul a două studii principale, care au inclus în total 39 de sugari și copii cu vârsta până la trei ani și jumătate cu boala Pompe în forma de debut infantil. Acești pacienți au fost comparați cu un „grup istoric de comparație” de sugari și copii mici cu boala Pompe, care nu mai fuseseră tratați anterior și care nu au luat parte la studii. Principalii indicatori ai eficacității au fost numărul pacienților care au supraviețuit și numărul celor care nu au avut nevoie de ventilator pentru a putea respira.

Myozyme a fost comparat, de asemenea, cu placebo (un preparat inactiv) în cadrul unui studiu principal care a inclus 90 de pacienți cu boala în forma de debut tardiv. Principalii indicatori ai eficacității au fost mărirea distanței pe care o pot parcurge în mers pacienții în șase minute și „capacitatea vitală forțată” a acestora (un indicator al nivelului de funcționare a plămânilor). Studiul a durat până la 18 luni.

## Ce beneficii a prezentat Myozyme în timpul studiilor?

În cadrul primului studiu principal, care a inclus sugari cu vârsta sub șase luni, toți cei 18 pacienți tratați cu Myozyme erau în viață la vârsta de 18 luni, iar 15 dintre aceștia nu au avut nevoie de ventilator pentru a putea respira. În schimb, în grupul istoric de comparație, numai un pacient din 42 mai era în viață la vârsta de 18 luni. Rezultatele au fost confirmate în celălalt studiu, care a inclus copii cu vârsta cuprinsă între șase luni și trei ani și jumătate.

În cazul bolii cu debut tardiv, Myozyme a fost mai eficace decât placebo atât în ceea ce privește mărirea distanței pe care o puteau parcurge în mers pacienții, cât și îmbunătățirea funcției plămânilor în cursul studiului.

## Care sunt riscurile asociate cu Myozyme?

Pe durata studiilor efectuate pe pacienții cu boala Pompe cu debut infantil, cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Myozyme (observate la mai mult de 1 din 10 pacienți) au fost tahicardie (bătăi rapide ale inimii), îmbujorare (înroșire), tuse, tahipnee (respirație rapidă), vărsături, urticarie (erupții alergice), erupții cutanate, pirexie (febră) și un nivel scăzut al saturației cu oxigen (nivel scăzut al oxigenului în sânge). În studiul privind boala cu debut tardiv, pacienții au avut multe dintre aceste

efecte secundare, dar au fost observate mai rar decât în studiile privind boala cu debut infantil. Aproape toate efectele secundare observate în tratamentul cu Myozyme au apărut în timpul administrării perfuziei sau imediat după aceea și au fost ușoare sau moderate. Pentru lista completă a tuturor efectelor secundare raportate asociate cu Myozyme, a se consulta prospectul.

Pacienții cărora li se administrează Myozyme pot dezvolta anticorpi (proteine produse drept răspuns la Myozyme). Efectul acestor anticorpi asupra siguranței și eficacității Myozyme nu este clarificat încă.

Myozyme nu se administrează persoanelor care au o reacție anafilactică (reacție alergică severă) care pune viața în pericol la alglucozidază alfa sau la oricare alt ingredient al acestui medicament, care nu poate fi controlată prin administrarea medicamentului într-un ritm de perfuzare mai lent și într-o doză redusă.

## **De ce a fost aprobat Myozyme?**

CHMP a hotărât că beneficiile Herceptin sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

## **Care sunt măsurile luate pentru a asigura utilizarea în siguranță a Myozyme?**

Societatea care produce Myozyme pune în aplicare un plan pentru a se asigura că Myozyme este utilizat în condiții de siguranță, în special prin monitorizarea modului în care pacienții cărora li se administrează Myozyme dezvoltă anticorpi, prin înregistrarea datelor tuturor pacienților cu boala Pompe și luând măsuri de asigurare că medicii cunosc reacțiile pe care pacienții le pot avea la administrarea perfuziei.

## **Alte informații despre Myozyme:**

Comisia Europeană a acordat Genzyme Europe B.V. o autorizație de introducere pe piață pentru Myozyme, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 29 martie 2006. Autorizația de introducere pe piață are valabilitate nelimitată.

EPAR-ul complet pentru Myozyme este disponibil pe site-ul agenției la [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Myozyme, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau consultați medicul sau farmacistul.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Myozyme se poate găsi pe site-ul agenției [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 01-2014.