



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **Povzetek EPAR za javnost**

---

# Myozyme

## alglukozidaza alfa

Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Myozyme. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil zdravilo Myozyme, na podlagi česar je oblikoval mnenje za odobritev dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

### **Kaj je zdravilo Myozyme?**

Zdravilo Myozyme je prašek za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije v veno). Vsebuje zdravilno učinkovino alglukozidazo alfa.

### **Za kaj se zdravilo Myozyme uporablja?**

Zdravilo Myozyme se uporablja za zdravljenje Pompejeve bolezni, ki je redka dedna bolezen. Bolniki s to boleznijo nimajo dovolj encima, imenovanega alfa-glukozidaza. Ta encim navadno pretvarja sladkor, ki je shranjen kot glikogen, v glukozo, ki jo telesne celice uporabljajo za energijo. Če encima primanjkuje, se začne glikogen kopičiti v določenih tkivih, zlasti v mišičnih tkivih, vključno s srcem in trebušno prepono (glavno dihalno mišico pod pljuči). Naraščajoče kopičenje glikogena povzroča številne simptome, med drugim povečano srce, dihalne težave in oslabeledost mišic. Bolezen se lahko pojavi ob rojstvu („zgodnji nastop“ bolezni), pa tudi kasneje v življenju („pozni nastop“ bolezni).

Ker je bolnikov s Pompejevo boleznijo malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Myozyme dne 14. februarja 2001 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo, ki se uporablja pri redkih boleznih).

Zdravilo se dobi samo na recept.

### **Kako se zdravilo Myozyme uporablja?**

Zdravljenje z zdravilom Myozyme mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z obravnavo bolnikov s Pompejevo boleznijo ali drugo dedno boleznijo istega tipa.

---

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

**Telephone** +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

**E-mail** [info@ema.europa.eu](mailto:info@ema.europa.eu) **Website** [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

An agency of the European Union



Zdravilo Myozyme se daje z infuzijo v odmerku 20 mg na kilogram telesne mase enkrat vsaka dva tedna. Infundiranje je treba začeti počasi in ga počasi pospeševati do hitrosti, ko še ni znakov neželenih učinkov, ki bi jih to lahko povzročilo.

## **Kako zdravilo Myozyme deluje?**

Zdravilo Myozyme je encimska nadomestna terapija. Encimska nadomestna terapija zagotavlja bolnikom encim, ki jim ga primanjkuje, v tem primeru alfa-glukozidazo. Zdravilna učinkovina zdravila Myozyme, alglukozidaza alfa, je kopija človeškega encima, ki jo proizvajajo po metodi, znani kot „tehnologija rekombinantne DNK“. pri kateri celica prejme ustrezeni gen (DNK), s katerim lahko tvori encim. Nadomestni encim pomaga razgraditi glikogen in tako preprečiti njegovo nenormalno kopičenje v celicah.

## **Kako je bilo zdravilo Myozyme raziskano?**

Zdravilo Myozyme je bilo raziskano v dveh glavnih študijah, ki sta vključevali skupno 39 dojenčkov in otrok do starosti treh let in pol z zgodnjim nastopom Pompejeve bolezni. Te bolnike so primerjali s historično primerjalno skupino dojenčkov in otrok s Pompejevo boleznijo, ki niso bili zdravljeni in niso sodelovali v študijah. Glavni merili učinkovitosti sta bili število bolnikov, ki so preživeli, in število bolnikov, ki niso potrebovali predihavanja za lažje dihanje.

Zdravilo Myozyme so primerjali tudi s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine) v eni glavni študiji, v kateri je sodelovalo 90 bolnikov s poznim nastopom bolezni. Glavni merili učinkovitosti sta bili povečanje razdalje, ki jo je bolnik lahko prehodil v šestih minutah, in njihova „forsirana vitalna kapaciteta“ (kako dobro delujejo pljuča). Ta študija je trajala do 18 mesecev.

## **Kakšne koristi je zdravilo Myozyme izkazalo med študijami?**

V prvi glavni študiji z dojenčki, mlajšimi od šest mesecev, je vseh 18 bolnikov, ki so prejeli zdravilo Myozyme, pri starosti 18 mesecev še živelo, 15 od teh bolnikov za lažje dihanje ni potrebovalo predihavanja. Nasprotno pa je v historični primerjalni skupini od 42 bolnikov preživel samo en bolnik do starosti 18 mesecev. Rezultati so bili potrjeni z drugo študijo, ki je vključevala otroke, stare od šest mesecev do treh let in pol.

Pri poznem nastopu bolezni je zdravilo Myozyme med potekom študije učinkoviteje od placeba pomagalo pri povečanju razdalje, ki so jo bolniki lahko prehodili, in izboljšanju delovanja pljuč.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Myozyme?**

Med študijo pri bolnikih s Pompejevo boleznijo z zgodnjim nastopom so bili najpogostejši neželeni učinki zdravila Myozyme (opaženi pri več kot 1 bolniku od 10) tahikardija (pospešen srčni utrip), zardevanje, kašelj, tahipneja (pospešeno dihanje), bruhanje, urtikarija (srbeč izpuščaj), izpuščaji, pireksija (povišana telesna temperatura) in zmanjšana nasičenost s kisikom (nizke ravni kisika v krvi). V študiji poznega nastopa bolezni se je pojavilo veliko istih neželenih učinkov, vendar so bili opaženi manj pogosto kot v študijah bolezni z zgodnjim nastopom. Skoraj vsi neželeni učinki, opaženi pri zdravilu Myozyme, so se pojavili med infundiranjem ali tik po njem ter so bili blagi do zmerni. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Myozyme, glejte navodilo za uporabo.

Bolniki, ki prejema zdravilo Myozyme, lahko razvijejo protitelesa (beljakovine, ki se tvorijo kot odziv na zdravilo). Učinek teh protiteles na varnost in učinkovitost zdravila Myozyme še ni razjasnjen.

Zdravilo Myozyme se ne sme uporabljati pri osebah, ki imajo smrtno nevarno anafilaktično (hudo alergijsko) reakcijo na alglukozidazo alfa ali katero koli drugo sestavino zdravila, ki je ni mogoče obvladati s počasnejšim infundiranjem in zmanjšanim odmerkom.

### **Zakaj je bilo zdravilo Myozyme odobreno?**

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je zaključil, da so koristi zdravila Myozyme večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj odobri dovoljenje za promet.

### **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne uporabe zdravila Myozyme?**

Družba, ki izdeluje zdravilo Myozyme, pripravlja načrt za zagotavljanje varne uporabe zdravila Myozyme, ki v glavnem obsega spremljanje, kako se pri bolnikih, ki prejemajo zdravilo Myozyme, razvijejo protitelesa, vodenje evidence vseh bolnikov s Pompejevo boleznijo ter zagotavljanje, da so zdravniki seznanjeni z vsemi reakcijami na infundiranje.

### **Druge informacije o zdravilu Myozyme:**

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Myozyme, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila družbi Genzyme Europe B.V. dne 29. marca 2006. Dovoljenje za promet z zdravilom velja za nedoločen čas.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Myozyme je na voljo na spletni strani agencije [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Myozyme preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte s svojim zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Myozyme je na voljo na spletni strani agencije [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 01-2014.