

EMA/386898/2018  
EMA/H/C/004218

## Myalepta (*metreleptin*)

En oversigt over Myalepta, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Myalepta, og hvad anvendes det til?

Myalepta er et lægemiddel, der anvendes i tillæg til kost til at behandle lipodystrofi, der er en tilstand, hvor patienterne taber fedtvæv under huden, og hvor fedt ophobes andre steder i kroppen, f.eks. i leveren og musklerne. Dette lægemiddel anvendes hos:

- voksne og børn i alderen 2 år og opefter med generaliseret lipodystrofi (Berardinelli-Seip-syndrom og Lawrence-syndrom)
- voksne og børn i alderen 12 år og opefter med partiel (lokaliseret) lipodystrofi (herunder Barraquer-Simons-syndrom), når standardbehandling ikke har haft effekt.

Myalepta indeholder det aktive stof metreleptin.

Da antallet af patienter med de forskellige former for lipodystrofi er lavt, betragtes sygdommene som "sjældne", og Myalepta blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 17. juli 2012.

### Hvordan anvendes Myalepta?

Myalepta udleveres kun på recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge med erfaring i diagnosticering og behandling af patienter med stofskiftesygdomme.

Myalepta gives som en daglig injektion under huden på maven, låret eller overarmen på samme tidspunkt hver dag. Den anbefalede daglige dosis afhænger af patientens legemsvægt og tilpasses ud fra patientens respons på behandlingen. Patienten selv eller en omsorgsperson kan indsprøjte lægemidlet efter forudgående oplæring.

For mere information om brug af Myalepta, se indlægssedlen eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.

### Hvordan virker Myalepta?

Patienter med lipodystrofi har et lavt niveau af det humane hormon leptin, som spiller en vigtig rolle i reguleringen af nedbrydningen af fedt- og sukkerstoffer i kroppen. Det fører til tab af fedt under huden



og ophobning af fedt på andre steder, som f.eks. i leveren og musklerne, og høje fedtniveauer i blodet. Det medfører også insulinresistens (hvor kroppen ikke er i stand til at genkende insulin, der er et hormon, som hjælper med at regulere blodsukterniveauet).

Det aktive stof i Myalepta, metreleptin, ligner leptin. Det erstatter leptin og øger nedbrydningen af fedt i blodet, musklerne og leveren, og dermed afhjælper det en række unormale forhold hos patienter med lipodystrofi, herunder insulinresistens. Lægemidlet genskaber dog ikke fedtvævet under huden.

### **Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Myalepta?**

Det er i 2 hovedstudier med deltagelse af i alt 107 voksne og børn med generaliseret eller partiel lipodystrofi påvist, at Myalepta er effektivt til at sænke niveauet af fedtstoffer i blodet. I studierne blev Myalepta ikke sammenlignet med nogen anden behandling. Efter 12 måneders behandling faldt niveauet af fedtstoffer i blodet (triglycerider) fra ca. 15 mmol/l til ca. 5 mmol/l hos patienter med generaliseret sygdom og fra ca. 16 mmol/l til ca. 6 mmol/l hos patienter med partiel sygdom.

Insulinresistens blev også forbedret: Blodniveauet af et stof kaldet glykosyleret hæmoglobin (HbA1c), der indikerer, hvor godt blodsukkeret er kontrolleret, faldt fra 8,6 % til 6,4 % hos patienter med generaliseret lipodystrofi og fra 8,8 % til 8,0 % hos patienter med partiel lipodystrofi.

### **Hvilke risici er der forbundet med Myalepta?**

De hyppigste bivirkninger ved Myalepta (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 patienter) er for lavt blodsukker og vægttab. Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Myalepta fremgår af indlægssedlen.

### **Hvorfor er Myalepta godkendt i EU?**

Det er påvist, at Myalepta kan afhjælpe en række unormale forhold, der er forårsaget af leptinmangel, hos patienter med lipodystrofi, som er en sjælden sygdom, mod hvilken der kun findes få behandlinger. De bivirkninger, der ses ved Myalepta, er forventelige ved denne type behandling. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Myalepta opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Myalepta er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Myalepta. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

### **Hvilke oplysninger afventes der stadig for Myalepta?**

Da Myalepta er godkendt under særlige omstændigheder, skal den virksomhed, der markedsfører Myalepta, oprette et register over patienter, der behandles med lægemidlet, og gennemføre studier med henblik på yderligere undersøgelse af fordele og risici ved behandlingen, herunder muligheden for, at Myalepta medfører dannelse af antistoffer.

### **Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Myalepta?**

Den virksomhed, der markedsfører Myalepta, skal udarbejde informationsmateriale til patienter og læger med detaljerede oplysninger om, hvordan lægemidlet skal anvendes, og hvad man skal gøre i tilfælde af bivirkninger, herunder allergiske reaktioner, for lavt blodsukker og alvorlige infektioner.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Myalepta.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Myalepta løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Myalepta vurderes omhyggeligt, og der tages de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## **Andre oplysninger om Myalepta**

Yderligere information vedrørende Myalepta findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).