



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Myozyme

alfaalglükosidaas

Käesolev dokument on ravimi Myozyme Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloa andmist; samuti esitatakse komitee soovitusel, kuidas ravimit kasutada.

Mis on Myozyme?

Myozyme on pulber, millest valmistatakse infusioonilahus (veeni tilgutatav lahus). Ravim sisaldab toimeainena alfaalglükosidaasi.

Milleks Myozymet kasutatakse?

Myozymet kasutatakse haruldase päriliku haiguse Pompe tõvega patsientide raviks. Pompe tõvega patsientidel on ensüümi alfaalglükosidaasi vaegus. Tavaliselt lõhustab see ensüüm organismis glükogeenina (nn loomse tähtsena) sisalduva suhkru glükoosiks, mida saavad organismi rakud energia saamiseks kasutada vahetult. Ensüümi puudumise korral koguneb glükogeen teatud kudedesse, eelkõige südame- ja lihaskoesse (sealhulgas diafragmasse, mis on kopsude all paiknev peamine hingamislihas). Glükogeeni progresseeruv kogunemine põhjustab väga mitmesuguseid sümptomeid, sealhulgas südame laienemist, hingamisraskusi ja lihasnõrkust. See haigus võib ilmuda kohe pärast sündimist (imikueas ilmnev vorm) või ka hiljem.

Et Pompe tõvega patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Myozyme 14. veebruaril 2001 harvikravimiks.

Myozyme on retseptiravim.

Kuidas Myozymet kasutatakse?

Ravi Myozymega võib toimuda üksnes Pompe tõve või muude sama tüüpi pärilike haiguste raviks kogenud arsti järelevalve all.

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 **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Myozymet manustatakse veeniinfusioonina annuses 20 mg kehakaalu kilogrammi kohta üks kord iga kahe nädala järel. Infusioon peab algama aeglaselt ja seejärel võib infusiooni kiirust vähehaaval suurendada, kui ei esine infusiooniga kaasnevaid kõrvalnähte.

Kuidas Myozyme toimib?

Myozymet kasutatakse ensüümasendusraviks, mis tähendab, et patsiendile manustatakse puuduvat ensüümi (käesoleval juhul alfaalglükosidaasi). Myozyme toimeaine alfaalglükosidaas on inimese ensüümi alfaalglükosidaasi koopia, mida valmistatakse rekombinant-DNA-tehnika abil: ensüümi toodab rakk, millele on lisatud selle ensüümi teket võimaldav geen (DNA). Asendusensüüm aitab lagundada glükogeeni ning peatab selle kogunemise rakkudesse.

Kuidas Myozymet uuriti?

Myozymet uuriti kahes põhiuuringus, milles osales kokku 39 Pompe tõve imikueas algava vormiga imikut ja kuni 3,5-aastast väikelast. Võrdlusrühmaks olid ülduuringus osalenud imikud ja väikelapsed, kellel oli Pompe tõbi, kuid keda ei ravitud ja kes ei osalenud põhiuuringutes. Efektiivsuse põhinäitaja oli ellujäänud patsientide arv ja nende patsientide arv, kes suutsid hingata hingamisseadmeta.

Myozymet võrreldi ka platseeboga (näiva ravimiga) ühes põhiuuringus, milles osales 90 patsienti, kellel oli haiguse hilise algusega vorm. Efektiivsuse põhinäitajad olid teepikkus, mille patsiendid suutsid läbida kuue minuti jooksul, ja kopsutalitluse näitaja forsseeritud vitaalkapatsiteet. Uuring kestis kuni 18 kuud.

Milles seisneb uuringute põhjal Myozyme kasulikkus?

Esimeses põhiuuringus, milles osalesid alla 6 kuu vanused imikud, olid kõik 18 Myozymega ravitud patsienti 18 kuu vanuses elus ja neist 15 suutsid hingata ilma hingamisseadme abita. Võrdlusrühmas oli 18 kuu vanuses elus seevastu ainult üks patsient 42-st. Tulemusi kinnitas teine uuring, milles osalesid 6 kuu kuni 3,5 aasta vanused lapsed.

Haiguse hiljem algava vormiga patsientidel oli Myozyme efektiivsem kui platseebo nii patsientide läbitava teepikkuse suurendamisel kui ka kopsutalitluse parandamisel uuringu jooksul.

Mis riskid Myozymega kaasnevad?

Pompe tõve imikueas algava vormi uuringutel olid Myozyme kõige sagedamad kõrvalnähtud (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) tahhükardia (südame löögisageduse kiirenemine), õhetus, köha, tahhüpnöe (kiire hingamine), oksendamine, urtikaaria (nõgestõbi), lööve, palavik ja vere hapnikuküllastuse vähenemine (vere väike hapnikusisaldus). Haiguse hiljem algava vormi uuringutes oli patsientidel mitu sama kõrvalnähtu kui imikueas algava vormiga patsientide uuringus, kuid harvem. Enamik Myozymega kaasnevatest kõrvalnähtudest esinesid infusiooni ajal või vahetult selle järel ning olid nõrgad või möödud. Myozyme kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Myozymet saavatel patsientidel võivad tekkida organismis antikehad (valgud, mis tekivad reaktsioonina Myozymele). Antikehade mõju ravimi ohutusele ja efektiivsusele ei ole veel täiesti selge.

Myozymet ei tohi kasutada patsiendid, kellel on olnud eluohtlik alfaalglükosidaasi või selle ravimi mis tahes muu koostisaine suhtes anafülaktiline reaktsioon (tugev allergiline reaktsioon), mida ei olnud võimalik ohjeldada ravimit aeglasema infusioonina või väiksemas annuses manustades.

Miks Myozyme heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Myozyme kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas anda ravimi müügiloa.

Mis meetmeid võetakse, et tagada Myozyme kasutamise ohutus?

Myozyme tootja töötab välja ravimi ohutu kasutamise kava, peamiselt jälgides patsiente, kellel tekivad Myozyme suhtes antikehad, koostades Pompe tõvega patsientide registri ja tagades, et arstid teavad võimalikke reaktsioone, mis võivad kaasneda ravimi infusiooniga.

Muu teave Myozyme kohta

Euroopa Komisjon andis Myozyme müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, ettevõttele Genzyme Europe B.V. 29. märtsil 2006. *Müügiluba on tähtajatu.*

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Myozyme kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Kui vajate Myozymega toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Myozyme kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 01-2014.