



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Julkinen EPAR-yhteenveto

---

# Myozyme

## alglukosidaasi alfa

Tämä asiakirja on tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Myozyme-valmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkettä ja päättänyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon sekä Myozymen käyttöehtoja koskeviin suosituksiin.

### Mitä Myozyme on?

Myozyme on kuiva-aine, josta tehdään infuusioliuos (tiputettavaksi laskimoon). Sen vaikuttava aine on alglukosidaasi alfa.

### Mihin Myozymea käytetään?

Myozymea käytetään harvinaista perinnöllistä Pompen tautia sairastavien potilaiden hoitoon. Pompen tautia sairastavilla ihmisillä ei ole tarpeeksi alfaglukoosidaasi-nimistä entsyymiä. Normaalisti tämä entsyymi pilkkoo glykogeeniä varastoituneen sokerin glukoosiksi, jota elimistön solut käyttävät energian saamiseksi. Jos kehossa ei ole tätä entsyymiä, glykogeeni kerääntyy tiettyihin kudoksiin, varsinkin lihaksiin, mukaan lukien sydän ja pallea (keuhkojen alla oleva tärkein hengityslihaks). Glykogeenin vähittäinen kerääntyminen aiheuttaa monenlaisia oireita, joita ovat sydämen laajentuminen, hengitysvaikeudet ja lihasten heikkous. Sairaus voi puhjeta pikkuvauvana, mutta myös myöhemmin.

Koska Pompen tautia sairastavia potilaita on vähän, tauti katsotaan harvinaiseksi. Siksi Myozyme nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten tautien hoidossa käytettäväksi lääkkeeksi) 14. helmikuuta 2001.

Läkettä saa vain lääkärin määräyksestä.



## Miten Myozymeä käytetään?

Myozyme-hoito on annettava sellaisen lääkärin valvonnassa, joka on saanut kokemusta Pompen tautia tai muita samantyyppisiä periytyviä tauteja sairastavien potilaiden hoidosta.

Myozyme annetaan infuusiona 20 mg kehon painokiloa kohti joka toinen viikko. Infuusion anto aloitetaan hitaasti vähitellen nopeuttaen niin pitkään kuin infuusion aiheuttamista sivuvaikutuksista ei ole merkkejä.

## Miten Myozyme vaikuttaa?

Myozyme on entsyymikorvaushoito. Siinä potilaalle annetaan häneltä puuttuvaa entsyymiä, joka tässä tapauksessa on alglukosidaasi alfa. Myozymen vaikuttava aine alglukosidaasi alfa on ihmisen glukosidaasi alfan kopio, jota valmistetaan nk. DNA-yhdistelmätekniikan avulla. Entsyymiä tuottaa solu, joka on saanut entsyymien tuottamisen mahdollistavan geenin (DNA). Korvaava entsyymi auttaa glykokeenin pilkkomisessa ja ehkäisee sen kerääntymistä epänormaalisti soluissa.

## Miten Myozymeä on tutkittu?

Myozymeä on tutkittu kahdessa päätutkimuksessa, joihin osallistui yhteensä 39 Pompen tautiin sairastanutta lasta. Heidän ikänsä vaihteli vauvasta enintään kolmeen ja puoleen vuoteen. Potilaita verrattiin Pompen tautia sairastavien vauvojen ja pienten lasten historialliseen vertailuryhmään, johon kuuluvat lapset eivät olleet saaneet hoitoa eivätkä osallistuneet tutkimuksiin. Tehokkuuden pääasiallisena mittana oli eloonjääneiden potilaiden määrä sekä niiden potilaiden määrä, jotka eivät tarvinneet avukseen hengityslaitetta.

Myozymeä verrattiin myös lumelääkkeeseen yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 90 taudin myöhemmin puhkeavaa muotoa sairastavaa potilasta. Tehokkuuden pääasiallisena mittana oli etäisyys, jonka potilaat pystyivät kävelemään kuudessa minuutissa, sekä heidän keuhkojensa toiminnan laatua mittaava nopea vitaalikapasiteetti. Tutkimus kesti 18 kuukautta.

## Mitä hyötyä Myozymesta on havaittu tutkimuksissa?

Ensimmäisessä alle 6 kuukauden ikäisistä vauvoista tehdyssä päätutkimuksessa kaikki 18 Myozymeä saanutta potilasta oli elossa 18 kuukauden iässä. Näistä 15 lasta ei tarvinnut hengityslaitetta. Vastaavasti historiallisen vertailuryhmän 42 potilaasta vain yksi oli elossa 18 kuukauden iässä. Tulokset vahvistuivat toisessa tutkimuksessa, johon osallistuneiden lasten ikä vaihteli 6 kuukaudesta kolmeen ja puoleen vuoteen.

Myöhemmin puhkeavan taudin osalta Myozyme lisäsi lumelääkettä paremmin sekä kävelymatkan pituutta että keuhkojen toiminnan laatua tutkimuksen aikana.

## Mitä riskejä Myozymeen liittyy?

Lapsena puhjennutta Pompen taudin muotoa sairastaneista tehdyssä tutkimuksessa Myozymesta havaitut yleisimmät sivuvaikutukset olivat (useammalla kuin 1 potilaalla 10:stä) olivat takykardia (sydämen tiheälyöntisyys), lehdusoireet (punoitus), yskä, takypnea (tiheä hengitys), oksentelu, nokkosihottuma (kutiseva ihottuma), ihottuma, pyreksia (kuume) ja alentunut happikyllästeisyys (veren alhainen happipitoisuus). Tutkimuksessa myöhemmin puhjenneesta taudista havaittiin, että potilailla oli monia samoja sivuvaikutuksia, mutta niitä tavattiin harvemmin kuin tutkimuksissa pikkuvauvana puhjennutta muotoa sairastavilla potilailla. Lähes kaikki Myozymen sivuvaikutukset

ilmenivät infuusion aikana tai välittömästi sen jälkeen ja olivat lieviä tai kohtalaisia. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Myozymen ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Myozymea saaville potilaille voi kehittyä vasta-aineita (proteiineja, joita keho tuottaa reagoidessaan Myozymeen). Näiden vasta-aineiden vaikutusta Myozymen turvallisuuteen ja tehokkuuteen ei ole vielä selvitetty.

Myozymea ei saa antaa henkilöille, jotka ovat saaneet alglukosidaasi alfasta tai jostakin muusta valmistusaineesta hengenvaarallisen anafylaktisen (vakavan allergisen) reaktion, jota ei voi välttää antamalla lääkettä hitaampana infuusiona ja pienempänä annoksena.

## **Miksi Myozyme on hyväksytty?**

Lääkevalmistekomitea katsoi Myozymen hyödyn olevan sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

## **Miten voidaan varmistaa Myozymen turvallinen käyttö?**

Myozymea valmistava yhtiö toteuttaa suunnitelman Myozymen turvallisen käytön varmistamiseksi lähinnä valvomalla, miten Myozymea saaville potilaille kehittyy vasta-aineita, luomalla rekisteri kaikista Pompen tautia sairastavista ja varmistamalla, että lääkärit tietävät infuusion mahdollisesti aiheuttamista reaktioista.

## **Muita tietoja Myozymestä**

Euroopan komissio myönsi 29. maaliskuuta 2006 Genzyme Europe B.V. -yhtiölle koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Myozymea varten. Myyntilupa on voimassa toistaiseksi.

Myozyme-valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan EMAn verkkosivustolla kohdassa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Lisätietoja Myozyme-hoidosta saat pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon) tai lääkäriltä tai apteekista.

Harvinaislääkekomitean Myozymestä antaman lausunnon tiivistelmä on viraston verkkosivustolla kohdassa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 01-2014.