



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Myozyme

algliukozidazė alfa

Šis dokumentas yra vaisto Myozyme Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Myozyme rinkodaros teisę, ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

Kas yra Myozyme?

Myozyme – tai milteliai, iš kurių gaminamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas. Jo sudėtyje yra veikliosios medžiagos agliukozidazės alfa.

Kam naudojamas Myozyme?

Myozyme skirtas gydyti pacientus, sergančius reta įgimta Pompe liga. Šia liga sergančio žmogaus organizme trūksta fermento alfa gliukozidazės. Šis fermentas kaip glikogeną sukauptą cukrų paprastai paverčia gliukoze, kurią organizmo ląstelės gali panaudoti energijai gaminti. Jei organizme šio fermento trūksta, glikogenas kaupiasi tam tikruose audiniuose, ypač raumenyse, įskaitant širdies ir diafragmos (po plaučiais esantis pagrindinis kvėpuojamasis raumuo). Nuolatinis glikogeno kaupimasis sukelia įvairių simptomų ir požymių, įskaitant išsiplėtusią širdį, kvėpavimo sutrikimus ir raumenų silpnumą. Liga gali pasireikšti tik gimus (kūdikystėje) arba vėliau gyvenime.

Kadangi Pompe liga sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta ir 2001 m. vasario 14 d. Myozyme buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Kaip vartoti Myozyme?

Gydymą Myozyme turi prižiūrėti gydytojas, turintis Pompe ligos gydymo ar kitų panašių įgimtų ligų gydymo patirties.



Pacientui skiriama 20 mg kilogramui kūno svorio Myozyme infuzija kas dvi savaites. Infuzija pradedama iš lėto, vėliau jos greitis palaipsniui didinamas, jei ji nesukelia šalutinio poveikio.

Kaip veikia Myozyme?

Myozyme yra pakaitinės fermentų terapijos vaistas. Taikant tokią terapiją paciento organizmas aprūpinamas trūkstamu fermentu, šiuo atveju – alfa gliukozidaze. Veiklioji Myozyme medžiaga algliukozidazė alfa yra žmogaus alfa gliukozidazės kopija. Ji gaminama vadinamosios rekombinantinės DNR technologijos būdu: fermentą pagamina ląstelė, į kurią perkeltas genas (DNR), leidžiantis gaminti šį fermentą. Pakaitinis fermentas padeda suskaidyti glikogeną ir neleidžia jam kauptis ląstelėse.

Kaip buvo tiriamas Myozyme?

Myozyme tirtas dviejuose pagrindiniuose tyrimuose su 39 kūdikiais ir vaikais iki 3,5 metų amžiaus, kuriems liga pasireiškė kūdikystėje. Šie pacientai buvo lyginami su lyginamosios grupės Pompe liga sirgusiais pacientais, kuriems nebuvo taikomas joks gydymas ir kurie nedalyvavo tyrimuose. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo išgyvenusių pacientų skaičius ir pacientų, kuriems neprireikė plaučių ventiliacijos aparato kvėpavimui palaikyti, skaičius.

Myozyme taip pat lygintas su placebo (gydomojo poveikio neturinčiu preparatu) viename pagrindiniame tyrime su 90 pacientų, kuriems liga pasireiškė vėliau gyvenime. Pagrindiniai veiksmingumo rodikliai buvo atstumo, kurį pacientai galėjo nueiti per šešias minutes, pailgėjimas ir forsuota gyvybinė plaučių talpa (plaučių funkcijos rodiklis). Tyrimas truko 18 mėnesių.

Kokia Myozyme nauda nustatyta tyrimuose?

Pirmajame pagrindiniame tyrime su jaunesniais nei šešių mėnesių kūdikiais visi 18 Myozyme gydytų pacientų 18-ąjį mėnesį nuo gimimo vis dar buvo gyvi, o 15-ai jų nereikėjo kvėpavimo palaikyti dirbtiniu būdu, o lyginamojoje grupėje iki 18-ojo mėnesio nuo gimimo išgyveno tik 1 pacientas iš 42. Tokius rezultatus patvirtino ir kitas tyrimas, atliktas su 6 mėnesių–3,5 metų amžiaus vaikais.

Tyrime su vėliau gyvenime pasireiškusia liga sergančiais pacientais Myozyme buvo veiksmingesnis už placebo: juo gydyti pacientai galėjo nueiti didesnę atstumą ir gydymo metu jų plaučių funkcija pagerėjo.

Kokia rizika siejama su Myozyme vartojimu?

Tyrimuose su kūdikystėje pasireiškusia Pompe liga sergančiais pacientais dažniausi gydymo Myozyme šalutiniai reiškiniai (nustatyti daugiau kaip 1 pacientui iš 10) buvo tachikardija (padažnėjęs širdies ritmas), veido paraudimas, kosulys, tachipnėja (greitas kvėpavimo ritmas), vėmimas, urtikarija (dilgėlinė), bėrimas, karščiavimas ir sumažėjęs kraujo įsotinimas deguonimi (mažas deguonies kiekis kraujyje). Vėliau gyvenime pasireiškusios ligos tyrime pacientams nustatytas panašus šalutinis poveikis, tačiau jis pasireiškė rečiau nei kūdikystėje pasireiškusios ligos tyrime. Beveik visi šie šalutiniai reiškiniai nustatyti infuzijos metu arba iš karto po jos. Jie buvo lengvo arba vidutinio sunkumo. Išsamų visų šalutinių reiškinų, apie kuriuos pranešta gydant Myozyme, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Myozyme gydomo paciento organizmas gali pradėti gaminti antikūnus (proteinus, kuriuos organizmas pradeda gaminti reaguodamas į Myozyme). Kaip nuo šių antikūnų priklauso vaisto saugumas ir veiksmingumas, iki galo neištirta.

Myozyme negalima skirti pacientams, kuriems alfa algliukozidazė ar kita šio vaisto sudėtinė medžiaga anksčiau yra sukėlusį gyvybei pavojų keliančią anafilaksinę (sunkią alerginę) reakciją, kurios neįmanoma išvengti net vaistą leidžiant lėčiau arba skiriant mažesnę jo dozę.

Kodėl Myozyme buvo patvirtintas?

CHMP nusprendė, kad Myozyme teikiama nauda yra didesnė už keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo rinkodaros teisę.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų Myozyme vartojimą?

Myozyme gaminanti bendrovė įgyvendina planą, kuriuo stengiasi užtikrinti, kad Myozyme būtų vartojamas saugiai. Pildydama Pompe liga sergančių pacientų registrą, bendrovė stebi, kaip Myozyme gydomų pacientų organizmas gamina antikūnus. Ji taip pat stengiasi užtikrinti, kad gydytojai žinotų, kokios reakcijos į infuziją pacientui gali pasireikšti.

Kita informacija apie Myozyme:

Europos Komisija 2006 m. kovo 29 d. bendrovei „Genzyme Europe B.V.“ suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojančią Myozyme rinkodaros teisę. Rinkodaros teisė galioja neribotą laikotarpį.

Išsamų Myozyme EPAR galima rasti EMA interneto svetainėje ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Daugiau informacijos apie gydymą Myozyme galima rasti pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba gauti iš savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės apie Myozyme santrauką galima rasti agentūros interneto svetainėje ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Ši santrauka paskutinį kartą buvo atnaujinta 2014-01.