



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Myozyme

alglucosidase alfa

Dan id-dokument huwa sommarju tar-Rapport Pubbliku Ewropew ta' Valutazzjoni (EPAR) għal Myozyme. Huwa jispjega kif il-Kumitat għal Prodotti Medicinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) ivvaluta l-medicina biex wasal għal opinjoni favorevoli tiegħu fl-għoti tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq u r-rakkomandazzjonijiet tal-kondizzjonijiet tal-użu għal Myozyme.

X'inh i Myozyme?

Myozyme huwa trab li jsir soluzzjoni għall-infuzjoni (dripp fil-vina). Fih is-sustanza attiva alglucosidase alfa.

Għal xiex jintuża Myozyme?

Myozyme jintuża fil-kura ta' pazjenti li jbatu bil-marda ta' Pompe, marda rari li tintiret. Il-pazjenti li jbatu bil-marda ta' Pompe ma għandhomx biżżejjed mill-enzima msejġha alglucosidase alfa. Normalment din l-enzima tkisser iz-zokkor maħżun bħala glisogin fi glukożju li jista' jintuża għall-enerġija miċ-ċelloli tal-ġisem. Jekk l-enzima ma tkunx preżenti, il-glisogin jakkumula f'ċerti tessuti, partikolarment il-muskoli, fosthom il-qalb u d-dijaframma (il-muskoli ewlieni li permezz tiegħu nieħdu n-nifs li jinstab taħt il-pulmoni). L-akkumulazzjoni progressiva ta' glisogin tikkawża firxa wiesa' ta' sintomi, fosthom tkabbir fil-qalb, diffikultajiet fit-teħid tan-nifs u dgħjufija fil-muskoli. Il-marda tista' titfaċċa fit-twelid (il-'forma infantili') kif ukoll iktar tard fil-ħajja (il-'forma tardiva').

Peress li n-numru ta' pazjenti li jbatu mill-marda ta' Pompe huwa wieħed baxx, il-marda hi kkunsidrata bħala 'rari', u, fl-14 ta' Frar 2001, Myozyme ġie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina użata f'mard rari).

Il-medicina tista' tinkiseb biss b'ricetta ta' tabib.



Kif jintuża Myozyme?

It-terapija b'Myozyme għandha tkun sorveljata minn tabib b'esperjenza fit-trattament ta' pazjenti b'Pompe jew mard ereditarju ieħor tal-istess tip.

Myozyme jingħata bħala infużjoni fil-vina ta' 20 mg għal kull kg piż tal-ġisem mogħti darba kull ġimagħtejn. L-infużjoni għandha tinbeda bil-mod u mbagħad tiżdied bil-mod dment li mhemmx sinjali ta' effetti sekondarji kkawżati mill-infużjoni.

Kif jaħdem Myozyme?

Myozyme hu terapija enzimatika sostituttiva. Terapija enzimatika sostituttiva tipprovdi lill-pazjenti bl-enzima li ma għandhomx; f'dan il-każ, alglucosidase alfa. Is-sustanza attiva f'Myozyme, alglucosidase alfa, hija kopja tal-alglucosidase alfa umana, prodotta b'metodu magħruf bħala "teknoloġija tad-DNA rikombinant": l-enzima ssir minn ċellola li jkun irċieva ġene (DNA) li jagħmlu possibbli li jipproduċi l-enzima. L-enzima sostituttiva tgħin biex jiġi mkisser il-glijoġin u twaqqfu milli jtkattar b'mod mhux normali fiċ-ċelloli.

Kif ġie studjat Myozyme?

Myozyme ġie studjat f'żewġ studji ewlenin li involvew 39 tarbija u tfal sal-età ta' tliet snin u nofs li jbatu mill-marda ta' Pompe bil-forma infantili. Dawn il-pazjenti tqabblu ma' "grupp storiku ta' tqabbil" ta' trabi u tfal iżgħar morda bil-marda ta' Pompe li ma kinux ingħataw kura u ma ħadux sehem fl-istudju. Il-miżuri ewlenin tal-effikaċja kienu n-numru ta' pazjenti li ghexu u n-numru ta' pazjenti li ma kellhomx bżonn ventilatur biex jgħinhom jiehdu n-nifs.

Myozyme tqabbel ukoll ma' placebo (trattament finta) fi studju wieħed ewlieni li involva 90 pazjent bil-forma tardiva tal-marda. Il-miżuri ewlenin tal-effikaċja kienu ż-żieda fid-distanza li l-pazjenti setgħu jimxu f'sitt minuti u fil-"kapacità vitali forzata" (kejl ta' kemm il-pulmuni qed jaħdmu tajjeb). L-istudju dam 18-il xahar.

Liema benefiċċju wera Myozyme waqt l-istudji mwettqa?

Fl-ewwel studju ewlieni, li involva trabi iżgħar minn sitt xhur, it-tmintax-il pazjent kollha li ġew ikkurati b'Myozyme kienu ħajjin meta leġqu l-età ta' 18-il xahar, u 15 minn dawn ma kellhm bżonn ventilatur biex jgħinhom jiehdu n-nifs. B'kuntrast ma' dan, 42 pazjent biss fil-grupp storiku ta' tqabbil kienu ħajjin fl-età ta' 18-il xahar. Ir-riżultati ġew ikkonfermati fl-istudju l-ieħor, li involva tfal bejn l-etajiet ta' sitt xhur u tliet snin u nofs.

Fil-forma tardiva tal-marda, Myozyme kien iktar effettiv mill-placebo fit-titjib kemm tad-distanza li l-pazjenti setgħu jimxu kif ukoll fit-tħaddim tal-pulmun tul l-istudju.

X'inhu r-riskju assoċjat ma' Myozyme?

Matul l-istudji f'pazjenti bil-forma infantili tal-marda ta' Pompe, l-iktar effetti sekondarji komuni b'Myozyme (li dehru f'iktar minn pazjent 1 minn kull 10) kienu takikardja (taħbit il-qalb mgħaġġel), ħmura fil-wiċċ, tqahqiħ, takipnoea (nifs mgħaġġel), remettar, urtikarja, raxx, pireksja (deni) u inqas saturazzjoni tal-ossiġnu (livelli baxxi ta' ossiġnu fid-demm). Fl-istudju tal-forma tardiva, il-pazjenti kellhom ħafna mill-istess effetti sekondarji, iżda dehru inqas spissi milli fl-istudji fil-forma infantili tal-marda. Kważi l-effetti sekondarji kollha li dehru b'Myozyme seħħew matul jew eżatt wara l-infużjoni u kienu ħfief jew moderati. Għal-lista shiħa tal-effetti sekondarji rrapportati b'Myozyme, ara l-Fuljett ta' Tagħrif.

Il-pazjenti li ngħataw Myozyme jistgħu jiżviluppaw antikorpi (proteini prodotti b'rispons għal Myozyme). L-effett ta' dawn l-antikorpi fuq is-sigurtà u l-effikaċja ta' Myozyme għadu mhux ċar.

Myozyme ma għandux jintuża f'nies li kellhom reazzjoni anafilattika serja ħafna (allergija gravi) għal alglucosidase alfa jew għal ingredjenti oħra li ma jistgħux jiġu ġestiti jekk il-medicina tingħata b'rata ta' infużjoni iktar bil-mod jew doża mnaqqsa.

Għaliex ġie approvat Myozyme?

Is-CHMP iddeċieda li l-benefiċċji ta' Myozyme huma akbar mir-riskji tiegħu u rrikomanda li jingħata awtorizzazzjoni biex jitpogġa fuq is-suq.

X'miżuri qegħdin jitteħdu bies jassiguraw użu sigur ta' Myozyme?

Il-kumpanija li timmanifattura Myozyme qed tfejji pjan biex tassigura li Myozyme jintuża b'mod sigur, l-aktar billi l-pazjenti li ngħataw Myozyme jiġu monitorjati sabiex ikun magħruf jekk żviluppawx antikorpi, permezz ta' twaqqif ta' registru miftuħ għal pazjenti kollha bil-marda ta' Pompe, u fl-istess ħin jassiguraw li t-tobba jkunu jafu fuq ir-reazzjonijiet li l-pazjenti jista' jkollhom għall-infużjoni.

Aktar tagħrif dwar Myozyme:

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Myozyme lil Genzyme Europe B.V. fid-29 ta' Marzu 2006. L-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq hija valida għal perjodu mhux limitat.

L-EPAR sñiħ ta' Myozyme jinsab fuq is-sit tal-Aġenzija [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Myozyme, aqra l-fuljett ta' tagħrif (huwa parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Medicinali Orfni għal Myozyme huwa disponibbli fis-sit elettroniku tal-Aġenzija [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar f'01-2014.