



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Myozyme

αλγλυκοσιδάση άλφα

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Myozyme. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Myozyme.

Τι είναι το Myozyme;

Το Myozyme είναι κόνις για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (ενστάλαξη σε φλέβα). Περιέχει τη δραστική ουσία αλγλυκοσιδάση άλφα.

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Myozyme;

Το Myozyme χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών που πάσχουν από τη νόσο Pompe, μια σπάνια κληρονομική διαταραχή. Οι ασθενείς με νόσο Pompe παρουσιάζουν ανεπάρκεια ενός ενζύμου που ονομάζεται άλφα γλυκοσιδάση. Κανονικά, αυτό το ένζυμο αποδομεί το σάκχαρο που αποθηκεύεται ως γλυκογόνο σε γλυκόζη που μπορεί να χρησιμοποιηθεί ως ενέργεια από τα κύτταρα του οργανισμού. Η απουσία αυτού του ενζύμου οδηγεί σε συσσώρευση του γλυκογόνου σε ορισμένους ιστούς, ιδιαίτερα στους μύς, περιλαμβανομένης της καρδιάς και του διαφράγματος (ο κύριος αναπνευστικός μύς κάτω από τους πνεύμονες). Η προοδευτική συσσώρευση γλυκογόνου προκαλεί ένα ευρύ φάσμα συμπτωμάτων, όπως διόγκωση της καρδιάς, αναπνευστικές δυσκολίες και μυϊκή αδυναμία. Η ασθένεια μπορεί να εμφανιστεί κατά τη γέννηση («παιδική» μορφή της ασθένειας), αλλά και αργότερα (μορφή «όψιμης έναρξης»). Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με νόσο Pompe και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Myozyme χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 14 Φεβρουαρίου 2001.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.



Πώς χρησιμοποιείται το Myozyme;

Η επίβλεψη της θεραπείας με Myozyme πρέπει να διενεργείται από γιατρό πεπειραμένο στην αντιμετώπιση ασθενών που πάσχουν από τη νόσο του Pompe ή από άλλες κληρονομικές νόσους του ίδιου τύπου.

Το Myozyme χορηγείται με έγχυση των 20 mg ανά χιλιόγραμμο σωματικού βάρους, μία φορά κάθε δύο εβδομάδες. Η έγχυση πρέπει να ξεκινά αργά και να επιταχύνεται σταδιακά, εφόσον δεν προκαλεί συμπτώματα ανεπιθύμητων ενεργειών.

Πώς δρα το Myozyme;

Το Myozyme είναι θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης. Η θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης παρέχει στους ασθενείς το ένζυμο που τους λείπει, σε αυτήν την περίπτωση την άλφα γλυκοσιδάση. Η δραστική ουσία του Myozyme, η αλγλυκοσιδάση άλφα, είναι αντίγραφο της ανθρώπινης άλφα γλυκοσιδάσης και παράγεται με τη μέθοδο της «τεχνολογίας ανασυνδυασμένου DNA»: το ένζυμο παράγεται από ένα κύτταρο στο οποίο έχει εισαχθεί ένα γονίδιο (DNA) που το καθιστά ικανό να παράγει το ένζυμο. Το ένζυμο υποκατάστασης συμβάλλει στη διάσπαση του γλυκογόνου και εμποδίζει τη μη φυσιολογική συσσώρευσή του στα κύτταρα.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Myozyme;

Το Myozyme μελετήθηκε σε δύο κύριες μελέτες, στις οποίες συμμετείχαν συνολικά 39 βρέφη και παιδιά ηλικίας έως τριάντισι ετών που έπασχαν από την παιδική μορφή της νόσου Pompe. Οι εν λόγω ασθενείς συγκρίθηκαν με μία «ομάδα σύγκρισης ιστορικών δεδομένων» βρεφών και παιδιών νεαρής ηλικίας με νόσο του Pompe, που δεν είχαν λάβει θεραπεία και δεν συμμετείχαν στις μελέτες. Βασικοί δείκτες μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο αριθμός των ασθενών που επιβίωσαν και ο αριθμός των ασθενών που δεν χρειάζονταν αναπνευστική συσκευή για την υποβοήθηση της αναπνοής.

Το Myozyme συγκρίθηκε επίσης με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε μία κύρια μελέτη, στην οποία συμμετείχαν 90 ασθενείς με όψιμη έναρξη της νόσου. Βασικοί δείκτες μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η βελτίωση της απόστασης που οι ασθενείς μπορούσαν να διανύσουν περπατώντας επί έξι λεπτά και της «εκπνεόμενης ζωτικής χωρητικότητας» (δείκτης του βαθμού εύρυθμης λειτουργίας των πνευμόνων). Η μελέτη διήρκησε έως 18 μήνες.

Ποιο είναι το όφελος του Myozyme σύμφωνα με τις μελέτες;

Στην πρώτη κύρια μελέτη, στην οποία μετείχαν βρέφη ηλικίας κάτω των 6 μηνών, το σύνολο των 18 ασθενών που ακολούθησαν θεραπεία με Myozyme ήταν εν ζωή στην ηλικία των 18 μηνών, ενώ 15 εξ αυτών δεν χρειάζονταν αναπνευστική συσκευή για την υποβοήθηση της αναπνοής. Αντίθετα, μόνο ένας από τους 42 ασθενείς από την ομάδα σύγκρισης ιστορικών δεδομένων ήταν εν ζωή στην ηλικία των 18 μηνών. Τα αποτελέσματα επιβεβαιώθηκαν στην άλλη μελέτη, στην οποία συμμετείχαν παιδιά ηλικίας μεταξύ 6 μηνών και τριάντισι ετών.

Στη μορφή της όψιμης έναρξης της νόσου, το Myozyme ήταν πιο αποτελεσματικό από το εικονικό φάρμακο στη βελτίωση τόσο της απόστασης που μπορούσαν να διανύσουν οι ασθενείς περπατώντας όσο και της πνευμονικής τους λειτουργίας κατά τη διάρκεια της μελέτης.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Myozyme;

Κατά τη διάρκεια των μελετών σε ασθενείς με την παιδική μορφή της νόσου Pompe, οι συνηθέστερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Myozyme (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) ήταν

ταχυκαρδία (γρήγοροι καρδιακοί παλμοί), έξαψη (ερυθρότητα), βήχας, ταχύπνοια (γρήγορες αναπνοές), έμετος, κνίδωση (εξάνθημα με κνησμό), εξάνθημα, πυρεξία (πυρετός) και μειωμένος κορεσμός οξυγόνου (χαμηλά επίπεδα οξυγόνου στο αίμα). Στη μελέτη της όψιμης μορφής της νόσου, οι ασθενείς εμφάνισαν πολλές παρόμοιες ανεπιθύμητες ενέργειες, εντούτοις οι εν λόγω ανεπιθύμητες ενέργειες εκδηλώθηκαν σε μικρότερη συχνότητα σε σύγκριση με τις μελέτες της παιδικής μορφής της νόσου. Σχεδόν όλες οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρθηκαν με το Myozyme προέκυψαν κατά τη διάρκεια ή λίγο μετά την έγχυση και ήταν ήπιες ή μέτριας μορφής. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Myozyme περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι ασθενείς που λαμβάνουν Myozyme ενδέχεται να αναπτύξουν αντισώματα (πρωτεΐνες που παράγονται ως απόκριση στο Myozyme). Η επίδραση αυτών των αντισωμάτων στην ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του Myozyme δεν είναι ακόμη σαφής.

Το Myozyme δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που έχουν παρουσιάσει απειλητική για τη ζωή αναφυλακτική αντίδραση (σοβαρή αλλεργική αντίδραση) στην αλγλυκοσιδάση άλφα ή σε οποιοδήποτε άλλο συστατικό του φαρμάκου, η οποία δεν θα μπορούσε να αντιμετωπιστεί με χορήγηση του φαρμάκου με βραδύτερο ρυθμό έγχυσης και μειωμένη δόση.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Myozyme;

Η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του Myozyme υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή χρήση του Myozyme;

Η παρασκευάστρια εταιρεία του Myozyme προωθεί ένα σχέδιο για την διασφάλιση της ασφαλούς χρήσης του φαρμάκου, κυρίως παρακολουθώντας τον τρόπο ανάπτυξης αντισωμάτων από τους ασθενείς που λαμβάνουν Myozyme, καταρτίζοντας ένα μητρώο για όλους τους ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο Pompe και διασφαλίζοντας ότι οι γιατροί γνωρίζουν τις αντιδράσεις που προκαλεί η έγχυση του φαρμάκου στους ασθενείς.

Λοιπές πληροφορίες για το Myozyme

Στις 29 Μαρτίου 2006, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, στην Genzyme Europe B.V. για το Myozyme. Η άδεια κυκλοφορίας ισχύει επ' αόριστον.

Η πλήρης ευρωπαϊκή δημόσια έκθεση αξιολόγησης (EPAR) του Myozyme διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Myozyme, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην ευρωπαϊκή δημόσια έκθεση αξιολόγησης) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Myozyme διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 01-2014.