



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/386898/2018
EMA/H/C/004218

Myalepta (*metreleptinum*)

Přehled pro přípravek Myalepta a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Myalepta a k čemu se používá?

Myalepta je léčivý přípravek používaný spolu s dietou k léčbě lipodystrofie, při které pacienti ztrácejí tuk pod kůží a dochází k hromadění tuku v jiných částech těla, jako jsou játra a svaly. Tento léčivý přípravek se používá u:

- dospělých a dětí ve věku od 2 let s generalizovanou lipodystrofií (syndrom Bernardinelli-Seip a Lawrenceův syndrom),
- dospělých a dětí starších 12 let s částečnou (lokalizovanou) lipodystrofií (včetně Barraquer-Simonsova syndromu), pokud selhala standardní léčba.

Přípravek Myalepta obsahuje léčivou látku metreleptin.

Jelikož počet pacientů s různými formami lipodystrofie je nízký, tato onemocnění se považují za zřídka se vyskytující a přípravek Myalepta byl dne 17. července 2012 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Jak se přípravek Myalepta používá?

Výdej přípravku Myalepta je vázán na lékařský předpis a léčbu by měl zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s diagnostikou a léčbou pacientů s metabolickými poruchami.

Přípravek Myalepta se podává jednou denně injekčně pod kůži do břicha, stehna nebo horní části paže, a to každý den ve stejnou dobu. Doporučená denní dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta a upravuje se na základě odpovědi pacienta na léčbu. Po zaškolení mohou pacienti nebo ošetřující osoby injekce přípravku Myalepta aplikovat sami.

Více informací o používání přípravku Myalepta naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Myalepta působí?

Pacienti s lipodystrofií mají nízké hladiny lidského hormonu zvaného leptin, který hraje klíčovou roli při regulaci štěpení tuků a cukrů v těle. To vede ke ztrátě tuku pod kůží a k jeho hromadění na místech, jako jsou játra a svaly, a rovněž k vysokým hladinám tuku v krvi. Výsledkem je rovněž rezistence na inzulin (při níž tělo nedokáže rozpoznat inzulin, hormon, který pomáhá regulovat hladinu cukru v krvi).

Léčivá látka v přípravku Myalepta, metreleptin, je podobná leptinu. Nahrazuje leptin a zvyšuje štěpení tuků v krvi, svalech a játrech, čímž opravuje některé abnormality u pacientů s lipodystrofií včetně rezistence na inzulin. Léčivý přípravek však neobnovuje tukovou tkáň pod kůží.

Jaké přínosy přípravku Myalepta byly prokázány v průběhu studií?

Ve dvou hlavních studiích zahrnujících celkem 107 dospělých a dětí s generalizovanou nebo částečnou lipodystrofií bylo prokázáno, že přípravek Myalepta je účinný při snižování hladin krevního tuku. V těchto studiích nebyl přípravek Myalepta srovnáván s žádnou jinou léčbou. Po 12 měsících léčby poklesly hladiny tuků v krvi (triglyceridů) z přibližně 15 mmol/l na přibližně 5 mmol/l u pacientů s generalizovaným onemocněním a z přibližně 16 mmol/l na přibližně 6 mmol/l u pacientů s částečným onemocněním.

Rovněž došlo ke zlepšení rezistence na inzulin: hladiny látky zvané glykosylovaný hemoglobin (HbA1c) v krvi, které ukazují, jak dobře je hladina glukózy v krvi řízena, poklesly z 8,6 % na 6,4 % u pacientů s generalizovanou lipodystrofií a z 8,8 % na 8,0 % u pacientů s částečnou lipodystrofií.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Myalepta?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Myalepta (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou hypoglykemie (nízká hladina glukózy v krvi) a ztráta hmotnosti. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Myalepta a úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Myalepta registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Myalepta opravuje některé abnormality způsobené nedostatkem leptinu u pacientů s lipodystrofií, což je vzácné onemocnění, pro které je k dispozici málo typů léčby. Nežádoucí účinky pozorované u přípravku Myalepta odpovídají nežádoucím účinkům, které lze očekávat u tohoto typu léčby. Evropská agentura pro léčivé přípravky tudíž rozhodla, že přínosy přípravku Myalepta převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Myalepta byl registrován za „výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Myalepta získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Myalepta nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Myalepta byl registrován za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Myalepta dodává na trh, zřídí registr pacientů léčených tímto léčivým přípravkem a provede studie s cílem dále prozkoumat přínosy a rizika léčby včetně toho, zda přípravek Myalepta vyvolává tvorbu protilátek.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Myalepta?

Společnost, která přípravek Myalepta dodává na trh, poskytne pro pacienty a lékaře vzdělávací materiály s podrobnými informacemi o tom, jak přípravek Myalepta používat a co dělat v případě výskytu nežádoucích účinků, včetně alergických reakcí, hypoglykémie a závažných infekcí

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Myalepta, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků, údaje o používání přípravku Myalepta jsou průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Myalepta jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Myalepta

Další informace k přípravku Myalepta jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.