



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myalepta (*metreleptiini*)

Yleistiedot Myaleptasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Myalepta on ja mihin sitä käytetään?

Myalepta on lääke, jota käytetään ruokavaliohoidon lisäksi lipodystrofian hoitoon, kun potilaiden ihonalaisen rasvakudoksen määrä on riittämätön ja rasva on kertynyt elimistön muihin osiin, kuten maksaan ja lihaksiin. Lääkettä käytetään

- aikuisilla ja 2 vuotta täyttäneillä lapsilla, joilla on yleistynyt (koko elimistössä) lipodystrofia (Berardinelli–Seipin oireyhtymä ja Lawrencen oireyhtymä);
- aikuisilla ja 12 vuotta täyttäneillä lapsilla, joilla on partiaalinen (paikallinen) lipodystrofia (Barraquer–Simonsin oireyhtymä mukaan luettuna), kun tavanomaisilla hoidoilla ei ole saavutettu tuloksia.

Myaleptan vaikuttava aine on metreleptiini.

Koska lipodystrofian eri muotoja sairastavia potilaita on vähän, sairaudet katsotaan harvinaisiksi, ja Myalepta nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 17. heinäkuuta 2012.

Miten Myaleptaa käytetään?

Myaleptaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon aloittaa ja sitä seuraa lääkäri, jolla on kokemusta aineenvaihduntahäiriöiden toteamisesta ja hoidosta.

Myalepta annetaan kerran vuorokaudessa pistoksena vatsan, reiden tai olkavarren ihon alle samaan aikaan joka päivä. Suositusvuorokausiannos perustuu potilaan painoon, ja sitä voidaan muuttaa potilaan hoitovasteen perusteella. Potilaat tai omaishoitajat voivat injektoida lääkkeen itse saatuaan siihen opastuksen.

Lisätietoja Myaleptan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.



Miten Myalepta vaikuttaa?

Lipodystrofiaa sairastavilla potilailla on vähän ihmisen leptiinihormonia, jolla on tärkeä rooli rasvojen ja sokerien pilkkomisen säätelyssä elimistössä. Tämä johtaa riittämättömään ihonalaisen rasvakudoksen määrään ja rasvan kertymiseen esimerkiksi maksaan ja lihaksiin sekä veren rasva-arvojen nousuun. Lisäksi se aiheuttaa insuliiniresistenssiä (elimistö ei pysty tunnistamaan insuliinia, joka on veren sokeriarvojen säätelyssä auttava hormoni).

Myaleptan vaikuttava aine metreleptiini on samanlaista kuin leptiini. Se korvaa leptiinin ja lisää rasvan pilkkoutumista veressä, lihaksissa ja maksassa ja korjaa siten joitakin poikkeavuuksia, muun muassa insuliiniresistenssiä, lipodystrofiaa sairastavilla potilailla. Lääke ei kuitenkaan palauta ihon alaista rasvakudosta.

Mitä hyötyä Myaleptasta on havaittu tutkimuksissa?

Myaleptan on havaittu vähentävän tehokkaasti veren rasva-arvoja kahdessa päätutkimuksessa, johon osallistui yhteensä 107 aikuista ja lasta, joilla oli yleistynyt tai partiaalinen lipodystrofia. Näissä tutkimuksissa Myaleptaa ei verrattu muihin hoitoihin. Veren rasva-arvot (triglyseridit) vähenivät 12 kuukauden hoidon jälkeen lähtöarvosta noin 15 mmol/l arvoon noin 5 mmol/l potilailla, joilla oli yleistynyt sairaus, ja lähtöarvosta noin 16 mmol/l arvoon noin 6 mmol/l potilailla, joilla oli partiaalinen sairaus.

Myös insuliiniresistenssi koheni: veren glukoosipitoisuuden tasapainoa ilmaisevan glykosyloituneen hemoglobiinin (HbA1c) pitoisuus laski 8,6 prosentista 6,4 prosenttiin potilailla, joilla oli yleistynyt lipodystrofia, ja 8,8 prosentista 8,0 prosenttiin potilailla, joilla oli partiaalinen lipodystrofia.

Mitä riskejä Myaleptaan liittyy?

Myaleptan yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat hypoglykemia (matala verensokeri) ja painon lasku. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Myaleptan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Myalepta on hyväksytty EU:ssa?

Myaleptan on havaittu korjaavan joitakin leptiinin puutteesta aiheutuvia poikkeavuuksia potilailla, jotka sairastavat lipodystrofiaa – harvinaista sairautta, johon on saatavissa vain vähän hoitovaihtoehtoja. Myaleptan osalta havaitut haittavaikutukset ovat sellaisia, joita voidaan odottaa tällaiselta hoidolta. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Myaleptan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Myalepta on saanut myyntiluvan poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Myaleptasta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Myaleptasta odotetaan vielä saatavan?

Koska Myaleptalle on annettu myyntilupa poikkeusolosuhteissa, Myaleptaa markkinoiva yhtiö perustaa lääkkeellä hoidettujen potilaiden rekisterin ja toteuttaa lisätutkimuksia hoidon hyödystä ja riskeistä sekä mahdollisuudesta, että Myalepta laukaisisi vasta-aineiden tuotannon.

Miten voidaan varmistaa Myaleptan turvallinen ja tehokas käyttö?

Myaleptaa markkinoiva yhtiö toimittaa potilaille ja lääkäreille koulutusmateriaalia, jossa on yksityiskohtaista tietoa lääkkeen käytöstä ja siitä, miten pitää toimia sivuvaikutusten, kuten allergisten reaktioiden, hypoglykemian ja vakavien infektioiden, esiintyessä.

Suosituksset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Myaleptan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Myaleptan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Myaleptasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti, ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Myaleptasta

Lisää tietoa Myaleptasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).