



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myalepta (*métréleptine*)

Aperçu de Myalepta et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Myalepta et dans quel cas est-il utilisé?

Myalepta est un médicament utilisé en complément d'un régime alimentaire afin de traiter la lipodystrophie, une maladie dans laquelle les patients voient leur tissu adipeux sous la peau s'amincir et leur taux de graisse augmenter ailleurs dans l'organisme, notamment dans le foie et les muscles. Ce médicament est utilisé chez:

- les adultes et les enfants de plus de 2 ans souffrant d'une lipodystrophie généralisée (dans l'ensemble de l'organisme) (syndrome de Berardinelli Seip et syndrome de Lawrence);
- les adultes et les enfants de plus de 12 ans souffrant d'une lipodystrophie partielle (localisée) (notamment le syndrome de Barraquer-Simons), lorsque les traitements standards ont échoué.

Myalepta contient le principe actif métréleptine.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par les différentes formes de lipodystrophie, ces maladies sont dites «rares». C'est pourquoi Myalepta a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 17 juillet 2012.

Comment Myalepta est-il utilisé?

Myalepta n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans le diagnostic et la prise en charge de patients présentant des troubles métaboliques.

Myalepta est administré sous la forme d'une injection quotidienne sous la peau au niveau de l'abdomen (ventre), de la cuisse ou de la partie supérieure du bras, à la même heure tous les jours. La dose quotidienne recommandée dépend du poids corporel du patient et est ajustée en fonction de la réponse du patient au traitement. Les patients peuvent s'injecter eux-mêmes le médicament ou leurs aidants peuvent s'en charger, après avoir reçu une formation.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Myalepta, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.



Comment Myalepta agit-il?

Les patients atteints de lipodystrophie présentent de faibles taux d'une hormone humaine appelée leptine, qui joue un rôle essentiel dans la régulation de la dégradation des graisses et des sucres dans l'organisme. Cela provoque une perte de graisse sous la peau et son accumulation dans des organes tels que le foie et les muscles, ainsi que des taux élevés de graisse dans le sang. Cela se traduit également par une insulino-résistance (lorsque le corps est incapable de reconnaître l'insuline, une hormone qui aide à réguler les taux de sucre dans le sang).

Le principe actif de Myalepta, la métréleptine, est similaire à la leptine. Il remplace la leptine et accélère la dégradation des graisses dans le sang, les muscles et le foie, permettant ainsi de corriger certaines anomalies chez les patients atteints de lipodystrophie, notamment l'insulino-résistance. Néanmoins, le médicament ne permet pas de rétablir le tissu adipeux sous la peau.

Quels sont les bénéfices de Myalepta démontrés au cours des études?

Myalepta s'est avéré efficace pour diminuer les taux de graisse dans le sang dans le cadre de deux études principales menées sur un total de 107 adultes et enfants atteints de lipodystrophie généralisée ou partielle. Dans ces études, Myalepta n'a pas été comparé à d'autres traitements. Après 12 mois de traitement, les taux de graisses dans le sang (triglycérides) ont diminué d'environ 15 mmol/l à approximativement 5 mmol/l chez les patients atteints de lipodystrophie généralisée, et d'environ 16 mmol/l à approximativement 6 mmol/l chez les patients atteints de lipodystrophie partielle.

L'insulino-résistance a également connu une amélioration: les taux dans le sang d'une substance appelée hémoglobine glycosylée (HbA1c), qui donne une indication sur l'efficacité du contrôle de la glycémie, sont passés de 8,6 % à 6,4 % chez les patients atteints de lipodystrophie généralisée, et de 8,8 % à 8,0 % chez les patients atteints de lipodystrophie partielle.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Myalepta?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Myalepta (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont l'hypoglycémie (faible glycémie) et la perte de poids. Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Myalepta, voir la notice.

Pourquoi Myalepta est-il autorisé dans l'UE?

Myalepta s'est avéré efficace pour corriger certaines anomalies dues à un déficit en leptine chez les patients atteints de lipodystrophie, une maladie rare pour laquelle les traitements disponibles sont limités. Les effets indésirables observés sous Myalepta sont ceux que l'on attend de ce type de traitement. L'Agence européenne des médicaments a, par conséquent, estimé que les bénéfices de Myalepta sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Myalepta. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Myalepta en raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Myalepta?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Myalepta, la société qui commercialise Myalepta mettra en place un registre des patients traités par ce

médicament, et réalisera de nouvelles études afin d'examiner de manière plus approfondie les bénéfices et les risques du traitement, notamment la possibilité que Myalepta déclenche la production d'anticorps.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Myalepta?

La société qui commercialise Myalepta fournira aux patients et aux médecins des supports pédagogiques contenant des informations détaillées sur la façon d'utiliser le médicament et les mesures à prendre en cas d'effets indésirables, notamment des réactions allergiques, une hypoglycémie et des infections graves.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Myalepta ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Myalepta sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Myalepta sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Myalepta:

Des informations sur Myalepta sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.