



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Myalepta (*metreleptyna*)

Przegląd wiedzy na temat leku Myalepta i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Co to jest lek Myalepta i w jakim celu się go stosuje

Lek Myalepta jest stosowany jako dodatek do diety u pacjentów z lipodystrofią, w której dochodzi do utraty tkanki tłuszczowej podskórnej oraz odkładania się tłuszczu w innych częściach ciała, np. wątrobie i mięśniach. Lek stosuje się:

- u dorosłych i dzieci w wieku powyżej 2 lat z lipodystrofią uogólnioną (choroba zajmująca całe ciało) (zespół Seipa-Berardinelliego i zespół Lawrence'a),
- u dorosłych i dzieci w wieku powyżej 12 lat z lipodystrofią częściową (choroba zlokalizowana) (w tym pacjentów z zespołem Barraquera-Simonsa), u których standardowe leki okazały się nieskuteczne.

Lek Myalepta zawiera substancję czynną metreleptynę.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z różnymi postaciami lipodystrofii choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 17 lipca 2012 r. lek Myalepta uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

### Jak stosować lek Myalepta

Lek Myalepta jest wydawany wyłącznie na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz z doświadczeniem w diagnozowaniu i leczeniu pacjentów z zaburzeniami metabolizmu.

Lek Myalepta jest podawany w postaci wstrzykiwań raz na dobę pod skórę na brzuchu (w brzuch), udzie lub ramieniu, codziennie o tej samej porze. Zalecana dawka dzienna zależy od masy ciała pacjenta i jest dostosowywana na podstawie odpowiedzi pacjenta na leczenie. Po przeszkoleniu pacjenci lub opiekunowie mogą samodzielnie podawać lek.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Myalepta znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.



## **Jak działa lek Myalepta**

U pacjentów z lipodystrofią występuje niskie stężenie hormonu ludzkiego zwanego leptyną, który odgrywa kluczową rolę w rozkładaniu tłuszczów i cukrów w organizmie. Prowadzi to do utraty tłuszczu podskórnego oraz gromadzenia się tłuszczu w narządach takich jak wątroba i mięśnie, a także do wzrostu stężenia tłuszczu we krwi. Dodatkowo występuje również insulinooporność (organizm jest niezdolny do rozpoznania insuliny, hormonu regulującego stężenie cukru we krwi).

Substancją czynną leku Myalepta jest metreleptyna, substancja podobna do leptyny. Substancja ta uzupełnia niedobór leptyny oraz wspomaga rozkład tłuszczów we krwi, mięśniach i wątrobie, co umożliwi skorygowanie niektórych nieprawidłowości u pacjentów z lipodystrofią, w tym insulinooporności. Lek nie przywraca jednak podskórnej tkanki tłuszczowej.

## **Korzyści ze stosowania leku Myalepta wykazane w badaniach**

W dwóch badaniach głównych z udziałem łącznie 107 dorosłych pacjentów i dzieci z lipodystrofią uogólnioną lub częściową wykazano skuteczność leku Myalepta w zakresie zmniejszenia stężenia tłuszczu we krwi. W badaniach tych lek Myalepta nie był porównywany z żadną inną metodą leczenia. Po 12 miesiącach leczenia stężenie tłuszczów (trójglicerydów) we krwi uległo zmniejszeniu z ok. 15 mmol/l do ok. 5 mmol/l u pacjentów z lipodystrofią uogólnioną oraz z ok. 16 mmol/l do ok. 6 mmol/l u pacjentów z lipodystrofią częściową.

Poprawę odnotowano również w zakresie insulinooporności: stężenie we krwi substancji zwanej hemoglobina glikowaną (HbA1c), która stanowi wskaźnik kontroli stężenia glukozy we krwi, zmniejszyło się z 8,6% do 6,4% u pacjentów z lipodystrofią uogólnioną oraz z 8,8% do 8,0% u pacjentów z lipodystrofią częściową.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Myalepta**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Myalepta (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to hipoglikemia (niskie stężenie glukozy we krwi) oraz utrata masy ciała. Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Myalepta znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Myalepta w UE**

Wykazano, że lek Myalepta umożliwia skorygowanie niektórych nieprawidłowości spowodowanych niedoborem leptyny u pacjentów z lipodystrofią, rzadką chorobą, w przypadku której dostępnych jest niewiele metod leczenia. Działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Myalepta odpowiadają działaniom przewidywanym w przypadku tego typu leczenia. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Myalepta przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Myalepta dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Myalepta z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

## **Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Myalepta**

W związku z tym, że lek Myalepta uzyskał dopuszczenie do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca lek Myalepta do obrotu ustanowi rejestr pacjentów leczonych z zastosowaniem

tego leku oraz przeprowadzi badania w celu dodatkowego przeanalizowania korzyści i zagrożeń związanych z leczeniem, w tym zdolności leku Myalepta do pobudzania wytwarzania przeciwciał.

### **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Myalepta**

Firma, która wprowadza lek Myalepta do obrotu, dostarczy materiały szkoleniowe dla lekarzy i pacjentów, zawierające szczegółowe informacje o tym, jak należy stosować lek oraz jakie działania należy podjąć w przypadku wystąpienia działań niepożądanych, w tym reakcji alergicznych, hipoglikemii i ciężkich zakażeń.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Myalepta w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Myalepta są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Myalepta są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące leku Myalepta**

Dalsze informacje na temat leku Myalepta znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).