



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Myalepta (*metreleptină*)

O prezentare generală a Myalepta și de ce este autorizat acest medicament în UE

### Ce este Myalepta și pentru ce se utilizează?

Myalepta este un medicament care se utilizează în completarea regimului alimentar pentru tratarea lipodistrofiei, afecțiune în care pacienții prezintă pierderi ale țesutului gras de sub piele și acumulează grăsimea în alte părți ale organismului, cum ar fi în ficat sau în mușchi. Medicamentul se utilizează:

- la adulți, copii și adolescenți cu vârsta peste 2 ani cu lipodistrofie generalizată (la nivelul întregului organism) (sindrom Berardinelli-Seip și sindrom Lawrence);
- la adulți, copii și adolescenți cu vârsta peste 12 ani cu lipodistrofie parțială (localizată) (inclusiv cu sindrom Barraquer-Simons), atunci când tratamentele standard au eșuat.

Myalepta conține substanța activă metreleptină.

Din cauza numărului mic de pacienți cu diferite forme de lipodistrofie, bolile sunt considerate „rare”, iar Myalepta a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 17 iulie 2012.

### Cum se utilizează Myalepta?

Myalepta se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și monitorizat de un medic cu experiență în diagnosticarea și gestionarea pacienților cu tulburări metabolice.

Myalepta se administrează sub formă de injecție zilnică sub piele în abdomen (burtă), în coapsă sau în partea superioară a brațului, la aceeași oră în fiecare zi. Doza zilnică recomandată depinde de greutatea corporală a pacientului și se ajustează în funcție de răspunsul pacientului la tratament. Pacienții sau persoanele care au grijă de aceștia pot administra ei înșiși injecția, după ce au fost instruiți corespunzător.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Myalepta, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



## Cum acționează Myalepta?

Pacienții cu lipodistrofie prezintă niveluri scăzute ale unui hormon uman numit leptină, care joacă un rol esențial în reglarea descompunerii grăsimilor și a zahărului din organism. Acest lucru duce la pierderea grăsimii de sub piele și la acumularea acesteia în alte locuri, cum ar fi în ficat sau în mușchi, precum și la niveluri ridicate ale grăsimilor în sânge. De asemenea, acest lucru determină rezistența la insulină (atunci când organismul nu poate recunoaște insulina, un hormon care ajută la reglarea concentrației de zahăr din sânge).

Substanța activă din Myalepta, metreleptina, este asemănătoare leptinei. Aceasta înlocuiește leptina și intensifică descompunerea grăsimii din sânge, mușchi și ficat, corectând astfel o serie de anomalii la pacienții cu lipodistrofie, inclusiv rezistența la insulină. Cu toate acestea, medicamentul nu reface țesutul gras de sub piele.

## Ce beneficii a prezentat Myalepta pe parcursul studiilor?

Myalepta s-a dovedit eficace în reducerea concentrației de grăsime din sânge în 2 studii principale la care au participat în total 107 adulți, copii și adolescenți cu lipodistrofie generalizată sau parțială. În aceste studii, Myalepta nu a fost comparat cu niciun alt tratament. După 12 luni de tratament, concentrația de grăsimi în sânge (trigliceride) a scăzut de la aproximativ 15 mmol/l la aproximativ 5 mmol/l la pacienții cu boală generalizată și de la aproximativ 16 mmol/l la aproximativ 6 mmol/l la pacienții cu boală parțială.

De asemenea, s-a ameliorat rezistența la insulină: concentrațiile sangvine ale unei substanțe numite hemoglobină glicozilată (HbA1c), care oferă indicații despre cât de bine este controlată glicemia, au scăzut de la 8,6 % la 6,4 % la pacienții cu lipodistrofie generalizată și de la 8,8 % la 8,0 % la pacienții cu lipodistrofie parțială.

## Care sunt riscurile asociate cu Myalepta?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Myalepta (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt hipoglicemie (glicemie scăzută) și pierdere în greutate. Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Myalepta, citiți prospectul.

## De ce a fost autorizat Myalepta în UE?

S-a demonstrat că Myalepta corectează anumite anomalii cauzate de deficitul de leptină la pacienții cu lipodistrofie, o boală rară pentru care sunt disponibile puține tratamente. Reacțiile adverse observate în asociere cu Myalepta sunt de natura celor așteptate de la acest tip de tratament. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Myalepta sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Myalepta a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Myalepta. În fiecare an, Agenția va analiza orice informație nou apărută, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

## Ce informații se așteaptă în continuare despre Myalepta?

Având în vedere că Myalepta a fost autorizat în „circumstanțe excepționale”, compania care comercializează Myalepta va întocmi un registru cu pacienții tratați cu medicamentul și va realiza studii pentru a investiga suplimentar beneficiile și riscurile tratamentului, inclusiv posibilitatea ca Myalepta să declanșeze producerea de anticorpi.

## **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Myalepta?**

Compania care comercializează Myalepta va furniza pacienților și medicilor materiale educaționale care vor cuprinde informații detaliate despre modul de utilizare a medicamentului și cu privire la ceea ce trebuie făcut în caz de reacții adverse, inclusiv în caz de reacții alergice, hipoglicemie și infecții grave.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Myalepta, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Myalepta sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Myalepta sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

## **Alte informații despre Myalepta**

Informații suplimentare cu privire la Myalepta sunt disponibile pe site-ul Agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).