



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myalepta (*metreleptin*)

Pregled zdravila Myalepta in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Myalepta in za kaj se uporablja?

Zdravilo Myalepta je zdravilo, ki se uporablja kot dodatek prehrani za zdravljenje lipodistrofije, pri kateri imajo bolniki premalo maščobnega tkiva pod kožo in kopičijo maščobo drugje v telesu, na primer v jetrih in mišicah. Zdravilo se uporablja pri:

- odraslih in otrocih, starejših od dveh let, z generalizirano (po celotnem telesu) lipodistrofijo (Berardinelli-Seipovim sindromom in Lawrenceovim sindromom);
- odraslih in otrocih, starejših od 12 let, s parcialno (lokalizirano) lipodistrofijo (vključno z Barraquer-Simonsovim sindromom), če standardno zdravljenje ni bilo uspešno.

Zdravilo Myalepta vsebuje učinkovino metreleptin.

Ker je bolnikov z različnimi oblikami lipodistrofije malo, veljajo bolezni za „redke“, zato je bilo zdravilo Myalepta 17. julija 2012 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Kako se zdravilo Myalepta uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Myalepta je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in spremljati zdravnik, ki ima izkušnje z diagnosticiranjem in zdravljenjem bolnikov s presnovnimi motnjami.

Zdravilo Myalepta je v obliki injekcije, ki se enkrat na dan daje pod kožo abdomna (trebuha), stegna ali nadlahti, vsak dan ob enakem času. Priporočeni dnevni odmerek je odvisen od telesne mase bolnika in se prilagaja glede na njegov odziv na zdravljenje. Bolniki ali njihovi skrbniki lahko po ustreznem usposabljanju zdravilo injicirajo sami.

Za več informacij glede uporabe zdravila Myalepta glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.



Kako zdravilo Myalepta deluje?

Bolniki z lipodistrofijo imajo nizke ravni človeškega hormona, imenovanega leptin, ki ima ključno vlogo pri uravnavanju razgradnje maščob in sladkorjev v telesu. To povzroča izgubo maščobe pod kožo in njeno kopičenje na mestih, kot so jetra in mišice, ter visoko raven maščob v krvi. Prav tako povzroča odpornost na insulin (ko telo ne more prepoznati insulina, hormona, ki pomaga uravnati ravni sladkorja v krvi).

Učinkovina v zdravilu Myalepta, metreleptin, je podobna leptinu. Ta nadomešča leptin in povečuje razgradnjo maščob v krvi, mišicah in jetrih, s tem pa odpravlja nekatere nepravilnosti pri bolnikih z lipodistrofijo, vključno z odpornostjo na insulin. Vendar zdravilo ne obnavlja maščobnega tkiva v pod kožo.

Kakšne koristi zdravila Myalepta so se pokazale v študijah?

Zdravilo Myalepta se je izkazalo za učinkovito pri zmanjševanju ravni maščob v krvi v dveh glavnih študijah, v kateri je bilo vključenih skupaj 107 odraslih in otrok z generalizirano ali parcialno lipodistrofijo. V študijah zdravila Myalepta niso primerjali z nobenim drugim zdravilom. Po 12 mesecih zdravljenja se je raven maščob v krvi (trigliceridov) znižala s približno 15 mmol/l na približno 5 mmol/l pri bolnikih z generalizirano boleznijo in s približno 16 mmol/l na približno 6 mmol/l pri bolnikih s parcialno boleznijo.

Izboljšala se je tudi odpornost na insulin: ravni glikoziliranega hemoglobina (HbA1c) v krvi, ki kaže, kako dobro se nadzira glukoza v krvi, so se znižale z 8,6 % na 6,4 % pri bolnikih z generalizirano lipodistrofijo in z 8,8 % na 8,0 % pri bolnikih s parcialno lipodistrofijo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Myalepta?

Najpogostejša neželena učinka zdravila Myalepta (ki se lahko pojavita pri več kot 1 od 10 bolnikov) sta hipoglikemija (nizka raven glukoze v krvi) in izguba telesne mase. Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Myalepta glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Myalepta odobreno v EU?

Pokazalo se je, da zdravilo Myalepta odpravlja nekatere nepravilnosti, ki jih povzroča pomanjkanje leptina pri bolnikih z lipodistrofijo, redko boleznijo, za katero je na voljo malo možnosti zdravljenja. Neželeni učinki zdravila Myalepta so pričakovani za to vrsto zdravljenja. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Myalepta večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Myalepta je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Myalepta še pričakujemo?

Ker je zdravilo Myalepta pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo podjetje, ki ga trži, zagotovilo seznam bolnikov, ki prejemajo zdravilo, in izvedlo študije za nadaljnjo raziskavo koristi in tveganj zdravljenja, vključno z možnostjo, da zdravilo Myalepta sproži tvorbo protiteles.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Myalepta?

Podjetje, ki trži zdravilo Myalepta, bo bolnikom in zdravnikom zagotovilo izobraževalno gradivo s podrobnimi informacijami o uporabi zdravila in ukrepanju v primeru neželenih učinkov, vključno z alergijskimi reakcijami, hipoglikemijo in resnimi okužbami.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Myalepta upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Myalepta stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Myalepta, se skrbno ovrednotijo in po potrebi sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Myalepta

Nadaljnje informacije za zdravilo Myalepta so na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).