



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myalepta (*metreleptin*)

Sammanfattning av Myalepta och varför det är godkänt inom EU

Vad är Myalepta och vad används det för?

Myalepta är ett läkemedel som används som tillägg till kosten för att behandla lipodystrofi, där patienter har brist på fettvävnad under huden och ansamling av fett på andra platser i kroppen såsom i levern och musklerna. Läkemedlet ges till

- vuxna och barn över 2 års ålder med generaliserad (inom hela kroppen) lipodystrofi (Berardinelli-Seips syndrom och Lawrence syndrom),
- vuxna och barn över 12 års ålder med partiell (lokal) lipodystrofi (inräknat Barraquer-Simons syndrom), när standardbehandlingar inte har uppnått tillräcklig effekt.

Myalepta innehåller den aktiva substansen metreleptin.

Eftersom antalet patienter med de olika formerna av lipodystrofi är litet betraktas sjukdomarna som sällsynta och Myalepta klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 17 juli 2012.

Hur används Myalepta?

Myalepta är receptbelagt och behandling ska inledas och följas upp av en läkare med erfarenhet av diagnos och behandling av patienter med metabola sjukdomar.

Myalepta ges som en daglig injektion under huden i buken (magen), låret eller överarmen, vid samma tid varje dag. Den rekommenderade dagliga dosen beror på patientens kroppsvikt och justeras baserat på patientens svar på behandling. Patienterna eller vårdarna kan själva injicera läkemedlet efter att de fått lära sig hur man gör.

För att få mer information om hur du använder Myalepta, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



Hur verkar Myalepta?

Patienter med lipodystrofi har låga nivåer av ett mänskligt hormon som kallas leptin, vilket spelar en central roll i regleringen av fetters och sockerarters nedbrytning i kroppen. Detta leder till minskat underhudsfett och att fett ansamlas på platser som levern och musklerna, liksom till höga fettnivåer i blodet. Det leder också till insulinresistens (när kroppen inte kan känna igen insulin, ett hormon som hjälper till att reglera blodsockernivåerna).

Den aktiva substansen i Myalepta, metreleptin, liknar leptin. Den ersätter leptinet och ökar nedbrytningen av fett i blodet, musklerna och levern, och korrigerar på så sätt vissa avvikelser hos patienter med lipodystrofi, såsom insulinresistens. Läkemedlet återställer dock inte fettvävnaden under huden.

Vilka fördelar med Myalepta har visats i studierna?

Myalepta har visat sig vara effektivt när det gäller att sänka fettnivåerna i blodet i 2 huvudstudier på sammanlagt 107 vuxna och barn med generaliserad eller partiell lipodystrofi. I studierna jämfördes inte Myalepta med någon annan behandling. Efter 12 månadernas behandling sjönk nivåerna av fett (triglycerider) i blodet från cirka 15 mmol/l till cirka 5 mmol/l hos patienter med generaliserad sjukdom, och från cirka 16 mmol/l till cirka 6 mmol/l hos patienter med partiell sjukdom.

Insulinresistensen förbättrades också: nivåerna i blodet av ett ämne som kallas glykoliserat hemoglobin (HbA1c), som indikerar hur väl blodsockret kontrolleras, föll från 8,6 procent till 6,4 procent hos patienter med generaliserad lipodystrofi, och från 8,8 procent till 8,0 procent hos patienter med partiell lipodystrofi.

Vilka är riskerna med Myalepta?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Myalepta (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är hypoglykemi (lågt blodsocker) och viktminskning. En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Myalepta finns i bipacksedeln.

Varför är Myalepta godkänt i EU?

Myalepta har visats korrigera vissa avvikelser som orsakas av leptinbrist hos patienter med lipodystrofi, ett sällsynt tillstånd för vilket bara ett fåtal behandlingar finns tillgängliga. Biverkningarna av Myalepta är av ett slag som förväntas av denna typ av behandling. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Myalepta är större än riskerna och att Myalepta kan godkännas för försäljning i EU.

Myalepta har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Myalepta eftersom sjukdomen är sällsynt. EMA går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Myalepta saknas för närvarande?

Eftersom Myalepta har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall" ska företaget som marknadsför Myalepta inrätta ett register över patienter som behandlas med läkemedlet, samt utföra studier för att närmare undersöka nyttan och riskerna med behandlingen, inräknat möjligheten att Myalepta kan utlösa produktionen av antikroppar.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Myalepta?

Företaget som marknadsför Myalepta kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial till patienter och läkare med utförlig information om hur läkemedlet används och vad man ska göra om biverkningar inträffar, inräknat allergiska reaktioner, hypoglykemi och allvarliga infektioner.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Myalepta har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för läkemedlet kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Myalepta utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder för att skydda patienter vidtas.

Mer information om Myalepta

Mer information om Myalepta finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.