



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/31154/2011
EMA/H/C/000636

Резюме на EPAR за обществено ползване

Myozyme

alglucosidase alfa

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Myozyme. В него се разяснява оценката на Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) относно лекарството, на която Комитетът основава становище за издаване на разрешение за употреба и препоръки относно условията на употреба за Myozyme.

Какво представлява Myozyme?

Myozyme представлява прах, от който се приготвя инфузионен разтвор (вливане във вена). Съдържа активното вещество аглюкозидаза алфа (alglucosidase alfa).

За какво се използва Myozyme?

Myozyme се използва за лечение на пациенти с болест на Pompe, рядко наследствено заболяване. Пациентите, страдащи от болестта на Pompe, имат недостиг на ензим, наречен алфа-глюкозидаза. В нормални условия този ензим разглажда запасите от захар, складирани под формата на гликоген, в глюкоза, което може да бъде използвано за производството на енергия в клетките на организма. Когато ензимът липсва, гликогенът се натрупва в определени тъкани, и по-специално в мускулите, включително сърцето и диафрагмата (основният дихателен мускул под белите дробове). Прогресивното натрупване на гликоген причинява множество симптоми, включително увеличено сърце, затруднения при дишане и мускулна слабост. Заболяването може да се появи по рождение (неонатален дебют), но и по-късно в индивидуалния живот (късен дебют).

Тъй като броят на пациентите с болестта на Pompe е малък, заболяването се смята за „рядко“ и Myozyme е определен за „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 14 февруари 2001 г.

Лекарствен продукт, отпускан по лекарско предписание.



Как да използвате Myozyme?

Лечението с Myozyme трябва да се провежда от лекар с опит в лечението на пациенти с болестта на Pompe и други наследствени заболявания от същия тип.

Myozyme се прилага като инфузия от 20 mg на килограм телесно тегло, веднъж на две седмици. Инфузията трябва да започне бавно и след това постепенно да се увеличи, при положение че няма признаци за нежелани реакции, причинени от инфузията.

Как действа Myozyme?

Myozyme е ензимозаместваща терапия. Ензимозаместващата терапия осигурява на пациентите ензима, който им липсва; в този случай алфа-глюкозидаза. Активното вещество в Myozyme, аглюцераза алфа, представлява копие на този ензим и се произвежда по метод, познат като „рекомбинантна ДНК технология“: от клетка, получила ген (ДНК), който ѝ позволява да го произвежда. Замененият ензим помага за разглаждането на гликогена и спира абнормното му натрупване в клетките.

Как е проучен Myozyme?

Myozyme е проучен в две основни проучвания при общо 39 бебета и деца на възраст до три години и половина с неонатален дебют на болестта на Pompe. Тези пациенти са сравнени в „историческа група за сравнение“ от бебета и малки деца с болестта на Pompe, които не са лекувани и не са взимали участие в проучвания. Основните мерки за ефективност са броят на преживелите пациенти и броят на пациентите, които не са имали нужда от респиратор за подпомагане на дишането.

Myozyme е сравнен също с плацебо (сляпо лечение) в едно основно проучване при 90 пациенти с късен дебют. Основната мярка за ефективност е подобряването на разстоянието, което пациентите могат да изминат за шест минути, както и на показателя форсиран витален капацитет (мярка за измерване на белодробната функция). Проучването продължава 18 месеца.

Какви ползи от Myozyme са установени в проучванията?

В първото проучване, което обхваща бебета на възраст под шест месеца, всички 18 пациенти, лекувани с Myozyme, са живи на 18-месечна възраст, а 15 от тях не са имали нужда от респиратор за подпомагане на дишането. За сравнение само един от 42 пациенти в историческата група е жив на 18-месечна възраст. Резултатите са потвърдени в друго проучване, обхващащо деца на възраст между шест месеца и три години и половина.

При късния дебют Myozyme е по-ефективен от плацебо за подобряване, както на разстоянието, изминато от пациентите, така и на белодробната им функция в хода на проучването.

Какви са рисковете, свързани с Myozyme?

В проучванията на пациенти с неонатален дебют най-честите нежелани реакции при Myozyme (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са тахикардия (ускорен сърдечен ритъм), зачервяване, кашлица, тахипнея (учестено дишане), повръщане, уртикария (обриви със сърбеж), обрив, пирексия (повишена температура) и намалена кислородна сатурация (ниски нива на кислород в кръвта). В проучването на късния дебют пациентите получават много от същите нежелани реакции, които обаче се наблюдават по-рядко в сравнение с проучванията при неонаталния дебют. Почти всички нежелани реакции при Myozyme настъпват по време на

инфузията или веднага след нея и са леки или умерени. За пълния списък на всички наблюдавани при Муозуме нежелани реакции – вижте листовката.

Пациентите, приемащи Муозуме, могат да образуват антитела (белтъци, които се синтезират в отговор на Муозуме). Ефектът на тези антитела върху безопасността и ефективността на Муозуме още не е изяснен.

Муозуме е противопоказан за хора, които са имали животозастрашаваща анафилактична (тежка алергична) реакция към алглюкозидаза алфа или някоя от другите съставки, която не може да се контролира с бавна инфузия и намалени дози.

Какви са основанията за одобряване на Муозуме?

CHMP решава, че ползите от Муозуме са по-големи от рисковете, и препоръчва да му бъде издадено разрешение за употреба.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната употреба на Муозуме?

Компанията производител на Муозуме прилага план, който гарантира безопасната употреба на Муозуме, главно чрез наблюдение как пациентите, приемащи Муозуме, развиват антитела, чрез създаване на списък, отворен за всички пациенти, страдащи от болестта на Ромпе, и като гарантира, че лекарите знаят какви са възможните реакции на пациентите към инфузията.

Допълнителна информация за Муозуме:

Европейската комисия издава разрешение за употреба, валидно в Европейския съюз, за Муозуме на Genzyme Europe B.V. на 29 март 2006 г. Разрешението за употреба е безсрочно.

Пълният текст на EPAR за Муозуме може да се намери на уебсайта на Агенцията ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. За повече информация относно лечението с Муозуме – прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци относно Муозуме може да се намери на уебсайта на Агенцията на адрес: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Дата на последно актуализиране на текста 01-2014.