



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Myozyme

αglukozydaza alfa

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego preparatu Myozyme. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie preparatu Myozyme do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania preparatu.

Co to jest Myozyme?

Myozyme jest proszkiem, z którego sporządza się roztwór do infuzji (wlewu dożylnego). Preparat zawiera substancję czynną αglukozydazę alfa.

W jakim celu stosuje się preparat Myozyme?

Myozyme stosuje się w leczeniu pacjentów z chorobą Pompego, rzadką chorobą dziedziczną. Pacjenci z chorobą Pompego wykazują niedobór enzymu o nazwie alfa-glukozydaza. Enzym ten zazwyczaj rozkłada zgromadzony w postaci glikogenu cukier na glukozę, którą komórki organizmu mogą wykorzystywać przy wytwarzaniu energii. W przypadku niedoboru enzymu glikogen gromadzi się w niektórych tkankach, w szczególności w mięśniach, w tym w sercu i przeponie (głównym mięśniu odpowiedzialnym za oddychanie, położonym pod płucami). Stopniowe gromadzenie się glikogenu wywołuje wiele objawów, jak powiększone serce, problemy z oddychaniem i osłabienie mięśni. Choroba może pojawić się przy narodzinach (dziecięca postać choroby) lub w późniejszym stadium życia (późna postać choroby).

Ponieważ liczba pacjentów z chorobą Pompego jest niska, choroba uważana jest za rzadko występującą i w dniu 14 lutego 2001 r. preparat Myozyme uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.



Jak stosować preparat Myozyme?

Leczenie preparatem Myozyme powinno być prowadzone pod nadzorem lekarza doświadczonego w leczeniu pacjentów z chorobą Pompego lub innymi wrodzonymi chorobami tego samego rodzaju.

Preparat Myozyme podaje się raz co dwa tygodnie we wlewie dożylnym w dawce 20 mg na kilogram masy ciała. Infuzję należy rozpoczynać powoli i stopniowo ją przyspieszać, póki nie wystąpią działania niepożądane spowodowane infuzją.

Jak działa preparat Myozyme?

Myozyme jest enzymatyczną terapią zastępczą. Enzymatyczna terapia zastępcza dostarcza brakujący enzym, w tym przypadku – alfa-glukozydazę. Substancja czynna preparatu Myozyme, alfa-glukozydaza alfa, jest kopią ludzkiej alfa-glukozydazy. Jest ona wytwarzana metodą zwaną technologią rekombinacji DNA: enzym wytwarzany jest przez komórkę, do której wprowadzono gen (DNA) umożliwiający jej produkcję enzymu. Enzym zastępczy pomaga rozbić glikogen i hamuje jego nieprawidłowe gromadzenie się w komórkach.

Jak badano preparat Myozyme?

Preparat Myozyme badano w dwóch badaniach głównych obejmujących łącznie 39 niemowląt i dzieci w wieku do trzech i pół roku z dziecięcą postacią choroby Pompego. Tę grupę porównywano z „historyczną grupą porównawczą” złożoną z niemowląt i małych dzieci pacjentów z chorobą Pompego, którzy nie zostali poddani leczeniu i nie wzięli udziału w badaniach. Główną miarą skuteczności była liczba pacjentów, którzy przeżyli, oraz liczba pacjentów, którzy nie wymagali inwazyjnego wspomaganie oddychania.

Preparat Myozyme porównywano także z placebo (leczenie obojętne) w jednym badaniu głównym z udziałem 90 pacjentów z późną postacią choroby. Główną miarą skuteczności było wydłużenie odległości, jaką pacjenci mogli przejść w ciągu sześciu minut, oraz poprawa ich natężonej pojemności życiowej (która pozwala ocenić czynność płuc). Badanie trwało do 18 miesięcy.

Jakie korzyści ze stosowania preparatu Myozyme zaobserwowano w badaniach?

W pierwszym badaniu głównym, przeprowadzonym na niemowlętach mających mniej niż 6 miesięcy, wszystkich 18 pacjentów leczonych preparatem Myozyme dożyło wieku 18 miesięcy, a 15 niemowląt nie wymagało inwazyjnego wspomaganie oddychania; natomiast w historycznej grupie porównawczej wieku 18 miesięcy dożył tylko jeden z 42 pacjentów. Wyniki te potwierdzono w drugim badaniu z udziałem dzieci w wieku pomiędzy sześć miesięcy do trzech i pół roku.

W badaniu dotyczącym późnej postaci choroby, preparat Myozyme okazał się bardziej skuteczny niż placebo zarówno pod względem wydłużenia odległości, jaką pacjenci byli w stanie przejść, jak i poprawy czynności płuc w trakcie badania.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem preparatu Myozyme?

Podczas badań z udziałem pacjentów z dziecięcą postacią choroby Pompego, najczęstszymi działaniami niepożądanymi związanymi ze stosowaniem preparatu Myozyme (obserwowanymi u więcej niż 1 pacjenta na 10) były: tachykardia (przyspieszone bicie serca), uderzenia gorąca (zacerwienie), kaszel, przyspieszenie częstości oddychania, wymioty, pokrzywka (swędząca wysypka), wysypka, gorączka i obniżone natlenienie krwi (niski poziom tlenu we krwi). W badaniu dotyczącym późnej

postaci choroby, u pacjentów występowało wiele z wymienionych działań niepożądanych, lecz rzadziej, niż w badaniu nad dziecięcą postacią choroby. Prawie wszystkie działania niepożądane związane ze stosowaniem preparatu Myozyme wystąpiły w trakcie lub zaraz po zakończeniu infuzji i miały łagodny lub umiarkowany przebieg. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem preparatu Myozyme znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Pacjenci otrzymujący preparat Myozyme mogą wytwarzać przeciwciała (białka wytwarzane w odpowiedzi na Myozyme), których oddziaływanie na bezpieczeństwo i skuteczność preparatu Myozyme nie jest jeszcze dostatecznie znana.

Preparatu Myozyme nie należy stosować u osób, u których wystąpiła zagrażająca życiu reakcja anafilaktyczna (poważna alergia) na alglukozydazę alfa lub inny składnik preparatu, której nie można było zapobiec wolniejszą infuzją oraz mniejszą dawką preparatu.

Na jakiej podstawie zatwierdzono preparat Myozyme?

CHMP uznał, że korzyści płynące ze stosowania preparatu Myozyme przewyższają ryzyko i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie preparatu do obrotu.

Jakie środki przedsięwzięto w celu zapewnienia bezpiecznego stosowania preparatu Myozyme?

Firma wytwarzająca Myozyme wdraża plan mający na celu zapewnienie bezpiecznego stosowania preparatu, głównie poprzez kontrolowanie sposobu wytwarzania przeciwciał przez pacjentów otrzymujących preparat, oraz przez wdrożenie rejestru dostępnego dla wszystkich osób cierpiących na chorobę Pompego, jak i zadbanie o to, aby lekarze wiedzieli o reakcjach mogących wystąpić u pacjentów w następstwie infuzji.

Inne informacje dotyczące preparatu Myozyme:

W dniu 29 marca 2006 r. Komisja Europejska przyznała firmie Genzyme Europe B.V. pozwolenie na dopuszczenie preparatu Myozyme do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu zostało przyznane na czas nieokreślony.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące preparatu Myozyme znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia preparatem Myozyme należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także częścią EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Leków Sierocych dotyczące preparatu Myozyme znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Data ostatniej aktualizacji: 01-2014.