



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Myozyme

alglukozidáza alfa

Toto je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Myozyme. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie lieku na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Myozyme.

Čo je liek Myozyme?

Liek Myozyme je prášok, z ktorého sa pripravuje infúzny roztok (na kvapkanie do žily). Obsahuje účinnú látku alglukozidáza alfa.

Na čo sa liek Myozyme používa?

Liek Myozyme sa používa na liečbu pacientov s Pompeho chorobou, čo je zriedkavá dedičná porucha. Pacienti s Pompeho chorobou nemajú dostatok enzýmu nazývaného alfa-glukozidáza. Tento enzým zvyčajne rozkladá cukor uložený ako glykogén na glukózu, ktorú telové bunky môžu využiť ako zdroj energie. Ak tento enzým chýba, glykogén sa hromadí v určitých tkanivách, najmä vo svaloch vrátane srdca a bránice (hlavného dýchacieho svalu pod pľúcami). Progresívne hromadenie glykogénu zapríčiňuje rôzne príznaky vrátane zväčšeného srdca, dýchacích ťažkostí a svalovej slabosti. Táto choroba sa môže prejaviť hneď po narodení (nástup choroby hneď po narodení) alebo neskôr (nástup choroby v neskoršom veku).

Keďže je počet pacientov s Pompeho chorobou nízky, choroba sa považuje za zriedkavú, a preto bol liek Myozyme 14. februára 2001 označený za liek na zriedkavé choroby.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.



Ako sa liek Myozyme užíva?

Na liečbu liekom Myozyme by mal dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečením pacientov s Pompeho chorobou alebo inými dedičnými chorobami rovnakého druhu.

Liek Myozyme sa podáva ako infúzia v dávke 20 mg na kilogram telesnej hmotnosti, a to jedenkrát za dva týždne. Infúzia by sa mala začať podávať pomaly a mala by sa postupne zrýchľovať, ak sa neobjavia žiadne vedľajšie účinky infúzie.

Akým spôsobom liek Myozyme účinkuje?

Myozyme je liečba, ktorou sa nahrádza enzým. Liečbou, ktorou sa nahrádza enzým, sa pacientom dodáva chýbajúci enzým. V tomto prípade je to alfa-glukozidáza. Účinná látka lieku Myozyme, alglukozidáza alfa, je kópiou ľudskej alfa-glukozidázy, ktorá sa vyrába metódou známou ako technológia rekombinantnej DNA: enzým sa vytvára v bunke, do ktorej bol vložený gén (DNA), ktorý jej umožňuje produkovať enzým. Náhradný enzým pomáha rozkladať glykogén a zabraňuje jeho abnormálnemu hromadeniu v bunkách.

Ako bol liek Myozyme skúmaný?

Liek Myozyme bol skúmaný v dvoch hlavných štúdiách, na ktorých sa zúčastnilo celkovo 39 dojčiat a detí vo veku do tri a pol roka postihnutých Pompeho chorobou, ktorá nastúpila hneď po narodení. Títo pacienti sa porovnávali s retrospektívnou porovnávacou skupinou dojčiat a malých detí s Pompeho chorobou, ktoré neboli liečené ani sa nezúčastnili na štúdiách. Hlavnou mierou účinnosti bol počet pacientov, ktorí prežili, a počet pacientov, ktorí nepotrebovali ventiláciu na pomoc pri dýchaní.

Liek Myozyme sa takisto porovnával s placebom (zdanlivým liekom) v jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 90 pacientov s nástupom choroby v neskoršom veku. Hlavnou mierou činnosti bolo predĺženie vzdialenosti, ktorú pacienti dokázali prejsť za šesť minút, ako aj zlepšenie ich nútenej vitálnej kapacity (ukazovateľ toho, ako dobre im fungujú pľúca). Štúdia trvala najviac 18 mesiacov.

Aký prínos preukázal liek Myozyme v týchto štúdiách?

V prvej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnili dojčatá mladšie ako šesť mesiacov, všetkých 18 pacientov liečených liekom Myozyme žilo vo veku 18 mesiacov a 15 z nich nepotrebovalo ventiláciu na pomoc pri dýchaní. Na porovnanie, len jeden zo 42 pacientov z retrospektívnej porovnávej skupiny žil vo veku 18 mesiacov. Tieto výsledky sa potvrdili v ďalšej štúdii, na ktorej sa zúčastnili deti vo veku od šesť mesiacov do tri a pol roka.

V prípade choroby s nástupom v neskoršom veku bol liek Myozyme v rámci tejto štúdie účinnejší ako placebo, a to pri predlžovaní vzdialenosti, ktorú pacienti dokázali prejsť, ako aj pri zlepšovaní funkčnosti ich pľúc.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Myozyme?

Počas štúdií pacientov s Pompeho chorobou s nástupom hneď po narodení boli najčastejšie vedľajšie účinky lieku Myozyme (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) tachykardia (rýchly srdcový pulz), návaly (sčervenanie), kašeľ, tachypnoe (zrýchlené dýchanie), vracanie, urtikária (žihľavka), vyrážka, pyrexia (horúčka) a znížená saturácia kyslíkom (nízka hladina kyslíka v krvi). V štúdii choroby s nástupom v neskoršom veku boli u pacientov zaznamenané mnohé podobné vedľajšie účinky, ktoré sa však vyskytovali zriedkavejšie ako v prípade štúdií choroby s nástupom hneď po narodení. Takmer všetky vedľajšie účinky pozorované pri užívaní lieku Myozyme sa vyskytli počas infúzie alebo okamžite

po nej a boli mierne alebo stredne závažné. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Myozyme sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

U pacientov, ktorí užívajú liek Myozyme, sa môžu vytvoriť protilátky (proteíny, ktoré sa produkujú ako reakcia na liek Myozyme). Vplyv týchto protilátok na bezpečnosť a účinnosť lieku Myozyme zatiaľ nie je známy.

Liek Myozyme nesmú užívať osoby, ktoré už mali život ohrozujúcu anafylaktickú (závažnú alergickú) reakciu na alglukozidázu alfa alebo akékoľvek iné zložky lieku, ktoré nie je možné kontrolovať podávaním lieku prostredníctvom pomalšej infúzie a v zníženej dávke.

Prečo bol liek Myozyme povolený?

Výbor CHMP rozhodol, že prínos lieku Myozyme je väčší než riziká spojené s jeho užívaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie lieku na trh.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné používanie lieku Myozyme?

Spoločnosť, ktorá vyrába liek Myozyme, pripravuje plán na zabezpečenie bezpečného používania lieku Myozyme, a to predovšetkým prostredníctvom sledovania spôsobu vytvárania protilátok u pacientov, ktorí užívajú liek Myozyme, zavedenia registra všetkých pacientov s Pompeho chorobou a zabezpečenia toho, že lekári budú informovaní o možných reakciách pacientov na infúziu.

Ďalšie informácie o lieku Myozyme:

Dňa 29. marca 2006 Európska komisia vydala spoločnosti Genzyme Europe B.V. povolenie na uvedenie lieku Myozyme na trh platné v celej Európskej únii. Platnosť povolenia na uvedenie na trh je časovo neobmedzená.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Myozyme sa nachádza na webovej stránke agentúry EMA [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Myozyme, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárničku.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na zriedkavé choroby k lieku Myozyme sa nachádza na webovej stránke agentúry EMA: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 01-2014.