



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

# Myozyme

## alglukosidas alfa

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Myozyme. Det förklarar hur Kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt yttrande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

### Vad är Myozyme?

Myozyme är ett pulver som bereds till en infusionsvätska, lösning (ges som dropp i en ven). Det innehåller den aktiva substansen alglukosidas alfa.

### Vad används Myozyme för?

Myozyme används för behandling av patienter som har Pompes sjukdom, en ovanlig ärftlig sjukdom. Patienter som har Pompes sjukdom lider brist på ett enzym som kallas alfa-glukosidas. Detta enzym bryter normalt ned socker lagrat som glykogen till glukos som kroppens celler sedan kan använda som energi. Brist på detta enzym leder till att glykogen ansamlas i olika vävnader, särskilt musklerna, inklusive hjärtat och diafragman (den viktigaste andningsmuskeln nedanför lungorna). Den progressiva ansamlingen av glykogen ger upphov till en mängd olika symtom, däribland hjärtförstoring, andningssvårigheter och muskelförsvagning. Sjukdomen kan uppträda vid födseln ("sjukdomsdebut i spädbarnsåldern"), men också senare i livet ("sen sjukdomsdebut").

Eftersom antalet patienter med Pompes sjukdom är litet betraktas sjukdomen som sällsynt. Den 14 februari 2001 klassificerades Myozyme som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar).

Läkemedlet är receptbelagt.

### Hur används Myozyme?

Behandling med Myozyme ska övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med Pompes sjukdom eller andra ärftliga sjukdomar av samma typ.



Myozyme ges som en infusion på 20 mg per kilo kroppsvikt en gång varannan vecka. Infusionen ska starta långsamt. Hastigheten kan sedan gradvis ökas så länge det inte finns några tecken på biverkningar av infusionen.

## **Hur verkar Myozyme?**

Myozyme är en enzymersättningsbehandling. Enzymersättningsbehandling ger patienter det enzym de saknar, i detta fall alfa-glukosidas. Den aktiva substansen i Myozyme, alfa-glukosidas alfa, är en kopia av humant alfa-glukosidas och framställs med en metod som kallas rekombinant DNA-teknik, vilket innebär att enzymet framställs av en cell som fått en gen (DNA) som gör att cellen kan producera enzymet. Ersättningsenzymet underlättar nedbrytningen av glykogen och förhindrar att det ansamlas onormalt mycket glykogen i cellerna.

## **Hur har Myozymes effekt undersökts?**

Myozyme har undersökts i två huvudstudier som omfattade sammanlagt 39 spädbarn och barn upp till tre och ett halvt år med Pompes sjukdom som debuterat i spädbarnsåldern. Dessa patienter jämfördes med en historisk jämförelsegrupp bestående av spädbarn och små barn med Pompes sjukdom som inte fått behandling och inte omfattades av studierna. Huvudmåttet på effekt var antalet patienter som överlevde och antalet patienter som inte behövde hjälp att andas av en ventilator.

Myozyme har även jämförts med placebo (overksam behandling) i en huvudstudie som omfattade 90 patienter med sen sjukdomsdebut. Huvudmåttet på effekt var förbättringen av hur långt patienterna kunde gå på sex minuter och förbättringen av deras "forcerade vitalkapacitet" (ett mått på lungfunktion). Studierna pågick i upp till 18 månader.

## **Vilken nytta har Myozyme visat vid studierna?**

I den första huvudstudien som omfattade spädbarn under sex månaders ålder levde samtliga 18 patienter som behandlats med Myozyme vid 18 månaders ålder och 15 av dessa behövde inte hjälp att andas av en ventilator. Som jämförelse var det endast 1 av de 42 patienterna i den historiska jämförelsegruppen som levde vid 18 månaders ålder. Resultaten bekräftades i den andra studien som omfattade barn från sex månader till tre och ett halvt år.

Vid sen sjukdomsdebut var Myozyme effektivare än placebo när det gällde att förbättra det avstånd patienterna kunde gå och patienternas lungfunktion under studiens gång.

## **Vilka är riskerna med Myozyme?**

Under studierna på patienter med Pompes sjukdom med debut i spädbarnsåldern var de vanligaste biverkningarna (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) takykardi (hjärtklappning), rodnad, hosta, takypné (snabb andning), kräkningar, urtikaria (nässelutslag), utslag, pyrexia (feber) och minskad syremättnad (låga nivåer syre i blodet). I studien av Pompes sjukdom med sen debut hade patienterna många av samma biverkningar, men de uppträdde mindre ofta än i studierna av patienter vars sjukdom debuterade i spädbarnsåldern. Nästan samtliga av dessa biverkningar uppträdde under eller strax efter infusionen och var milda till måttliga. Förteckningen över samtliga biverkningar som rapporterats för Myozyme finns i bipacksedeln.

Patienter som får Myozyme kan utveckla antikroppar (proteiner som produceras som svar på Myozyme). Effekten av dessa antikroppar på Myozymes säkerhet och effekt är ännu inte klarlagd.

Myozyme får inte ges till personer som tidigare fått en livshotande anafylaktisk (kraftig allergisk) reaktion mot alglukosidas alfa eller något annat innehållsämne och denna inte kunnat hanteras genom att ge läkemedlet med sänkt infusionshastighet eller i lägre dos.

## **Varför har Myozyme godkänts?**

CHMP fann att fördelarna med Myozyme är större än riskerna och rekommenderade att Myozyme skulle godkännas för försäljning.

## **Vad görs för att garantera säker användning av Myozyme?**

Företaget som tillverkar Myozyme lägger upp en plan för att garantera att Myozyme används på ett säkert sätt, främst genom att övervaka hur patienter som får Myozyme utvecklar antikroppar, genom att inrätta ett register som är tillgängligt för alla patienter med Pompes sjukdom och genom att se till att läkare har kunskap om reaktioner som patienter kan få vid infusion.

## **Mer information om Myozyme**

Den 29 mars 2006 beviljade Europeiska kommissionen Genzyme Europe B.V. ett godkännande för försäljning av Myozyme som gäller i hela Europeiska unionen. Godkännandet för försäljning gäller utan tidsbegränsning.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats under [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Mer information om behandling med Myozyme finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller ditt apotek.

Sammanfattningen av yttrandet om Myozyme från Kommittén för sär läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Denna sammanfattning aktualiserades senast 01-2014.