



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Myalepta (*metreleptina*)

Información general sobre Myalepta y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Myalepta y para qué se utiliza?

Myalepta es un medicamento que se utiliza añadido a la dieta para tratar la lipodistrofia, que consiste en una pérdida del tejido adiposo subcutáneo con acumulación de grasa en otras partes del organismo, como el hígado y los músculos. Este medicamento se utiliza en:

- adultos y niños a partir de 2 años con lipodistrofia generalizada (que afecta a todo el cuerpo) (síndrome de Berardinelli-Seip y síndrome de Lawrence);
- adultos y niños a partir de 12 años con lipodistrofia parcial (localizada) (incluido el síndrome de Barraquer-Simons), en los que los tratamientos habituales no han sido eficaces.

Myalepta contiene el principio activo metreleptina.

Dado que el número de pacientes afectados por las distintas formas de lipodistrofia es escaso, esta enfermedad se considera «rara» y Myalepta ha sido designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 17 de julio de 2012.

### ¿Cómo se usa Myalepta?

Myalepta solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo y supervisararlo un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con trastornos del metabolismo.

Myalepta se administra mediante una inyección diaria bajo la piel del abdomen (estómago), el muslo o la parte superior del brazo, a la misma hora todos los días. La dosis diaria recomendada depende del peso corporal del paciente y se debe ajustarse en función de la respuesta del paciente al tratamiento. Los propios pacientes o cuidadores pueden inyectarse el medicamento una vez hayan recibido la formación necesaria.

Para mayor información sobre el uso de Myalepta, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.



## ¿Cómo actúa Myalepta?

Los pacientes con lipodistrofia presentan unas concentraciones bajas de una hormona humana llamada leptina, que es esencial para regular la degradación de las grasas y los azúcares en el organismo. Esto provoca una pérdida de la grasa que se encuentra debajo de la piel y su acumulación en lugares como el hígado y los músculos, así como unas concentraciones elevadas de grasa en la sangre. También origina resistencia a la insulina (situación en la que el organismo es incapaz de reconocer la insulina, una hormona que regula los niveles de azúcar en la sangre).

El principio activo de Myalepta, la metreleptina, es semejante a la leptina. Sustituye a la leptina y aumenta la degradación de las grasas de la sangre, los músculos y el hígado, corrigiendo así algunas anomalías que presentan los pacientes con lipodistrofia, como la resistencia a la insulina. Sin embargo, el medicamento no restablece el tejido adiposo subcutáneo.

## ¿Qué beneficios ha demostrado tener Myalepta en los estudios realizados?

Se ha demostrado que Myalepta es eficaz para reducir la concentración sanguínea de grasas en 2 estudios principales en los que participaron un total de 107 adultos y niños con lipodistrofia generalizada o parcial. En estos estudios, Myalepta no se comparó con ningún otro tratamiento. Después de 12 meses de tratamiento, la concentración sanguínea de grasas (triglicéridos) disminuyó de unos 15 mmol/l a unos 5 mmol/l en los pacientes con enfermedad generalizada y de unos 16 mmol/l a unos 6 mmol/l en los pacientes con enfermedad parcial.

También mejoró la resistencia a la insulina: la concentración sanguínea de una sustancia llamada hemoglobina glucosilada (HbA1c), que proporciona una indicación del grado de control de la glucemia, disminuyeron del 8,6 % al 6,4 % en los pacientes con lipodistrofia generalizada y del 8,8 % al 8,0 % en los pacientes con lipodistrofia parcial.

## ¿Cuál el riesgo asociado a Myalepta?

Los efectos adversos más frecuentes de Myalepta (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son la hipoglucemia (niveles bajos de glucosa en sangre) y la pérdida de peso. La lista completa de efectos adversos y restricciones de Myalepta se puede consultar en el prospecto.

## ¿Por qué se ha autorizado Myalepta en la UE?

Se ha demostrado que Myalepta corrige algunas de las anomalías causadas por la carencia de leptina en pacientes con lipodistrofia, una enfermedad rara para la que existen pocos tratamientos. Los efectos adversos observados con Myalepta son los esperados con este tipo de tratamiento. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Myalepta son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Myalepta se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Myalepta debido a la rareza de la enfermedad. La Agencia revisará cada año la información nueva que pueda estar disponible y esta información general se actualizará cuando sea necesario.

## ¿Qué información falta todavía sobre Myalepta?

Dado que Myalepta ha sido autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que comercializa Myalepta creará un registro de los pacientes tratados con el medicamento y realizará estudios para

investigar más a fondo los beneficios y riesgos del tratamiento, incluida la posibilidad de que Myalepta provoque la producción de anticuerpos.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Myalepta?**

La compañía que comercializa Myalepta proporcionará materiales educativos a pacientes y médicos con información detallada sobre cómo utilizar el medicamento y qué hacer en caso de que aparezcan efectos adversos, como reacciones alérgicas, hipoglucemia e infecciones graves.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Myalepta se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Myalepta se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Myalepta son evaluados cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## **Otra información sobre Myalepta**

Puede encontrar información adicional sobre Myalepta en la página web de la

Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).