

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

Myalepta (*metreleptin*)

A Myalepta nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Myalepta és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Myalepta a diéta kiegészítéseként alkalmazható a lipodisztrófia kezelésében, amely a bőr alatti zsírszövet elvesztésével és a zsírszövet egyéb helyeken, pl. a májban vagy az izmokban történő felhalmozódásával jár. A gyógyszert a következő betegcsoportoknál alkalmazzák:

- generalizált (a szervezet egészére kiterjedő) lipodisztrófiában (Berardinelli-Seip szindróma és Lawrence-szindróma) szenvedő felnőttek és 2 évnél idősebb gyermekek esetében;
- parciális (lokalizált) lipodisztrófiában (beleértve a Barraquer-Simons szindrómát) szenvedő felnőttek és 12 évnél idősebb gyermekek esetében, akiknél a standard kezelések sikertelenek voltak.

A Myalepta hatóanyaga a metreleptin.

Mivel a lipodisztrófia különböző formáiban szenvedő betegek száma alacsony, a betegségek „ritkának” minősülnek, ezért a Myalepta-t 2012. július 17-én „ritka betegségek elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

Hogyan kell alkalmazni a Myalepta-t?

A Myalepta csak receptre kapható, és a kezelést kizárólag az anyagcserezavarokban szenvedő betegek diagnosztizálásában és kezelésében tapasztalattal rendelkező orvos kezdheti meg és felügyelheti.

A Myalepta injekciót a has, a comb vagy a felsőkar bőre alá kell beadni napi egyszer, minden nap ugyanabban az időpontban. Az ajánlott napi dózis a beteg testtömegétől függ és a beteg kezelésre adott válaszána megfelelően állítható be. A betegek és a gondozók betanítást követően maguk is beadhatják a gyógyszert.

További információért a Myalepta alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Myalepta?

A lipodisztrófiában szenvedő betegeknél alacsony a leptin nevű emberi hormon szintje, amely fontos szerepet játszik a zsírok és a cukrok lebontásában. Ez a bőr alatti zsírszövet elvesztését és egyéb helyeken, pl. a májban vagy izmokban történő felhalmozódását, valamint magas vérzsírszintet eredményez. Inszulinrezisztenciát is eredményez (a szervezet nem ismeri fel az inzulint, a vércukorszint szabályozását elősegítő hormont).

A Myalepta hatóanyaga, a metreleptin a leptinhez hasonló anyag. A leptint helyettesítve javítja a zsír lebontását a vérben, az izmokban és a májban, és ezáltal helyreállít több, a lipodisztrófiában szenvedő betegeknél fennálló rendellenességet, pl. az inszulinrezisztenciát. Azonban a gyógyszer nem állítja helyre a bőr alatti zsírszövetet.

Milyen előnyei voltak a Myalepta alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Myalepta hatékonynak bizonyult a vérzsír szintjének csökkentésében a generalizált vagy parciális lipodisztrófiában szenvedő, 107 felnőtt és gyermek részvételével végzett 2 fő vizsgálatban. Ezekben a vizsgálatokban a Myalepta-t nem hasonlították össze más kezeléssel. A 12 hónapig tartó kezelést követően a vérzsírszint (trigliceridek) generalizált lipodisztrófiában szenvedő betegek esetén 15 mmol/l-ről körülbelül 5 mmol/l-re, parciális lipodisztrófiában szenvedő betegek esetén pedig 16 mmol/l-ről körülbelül 6 mmol/l-re csökkent.

Az inszulinrezisztencia szintén javult: a glikolizált hemoglobin (HbA1c) nevű anyag szintje a vérben, amely a vércukorszint szabályozásának minőségére utal, a generalizált lipodisztrófiában szenvedő betegek esetén 8,6%-ról 6,4%-ra, parciális lipodisztrófiában szenvedő betegek esetén pedig 8,8%-ról 8,0%-ra csökkent.

Milyen kockázatokkal jár a Myalepta alkalmazása?

A Myalepta leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hipoglikémia (alacsony vércukorszint) és a súlycsökkenés. A Myalepta alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Myalepta forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Myalepta hatékonynak bizonyult a lipodisztrófiában, egy kevés kezelési módszerrel rendelkező, ritka betegségben szenvedő betegeknél fennálló leptinhiány által okozott néhány rendellenesség kezelésében. A Myalepta mellékhatásai megegyeznek az ilyen típusú kezelés során várható mellékhatásokkal. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Myalepta alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

A Myalepta forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Myalepta-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Myalepta-val kapcsolatban?

Mivel a Myalepta forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a Myalepta-t forgalmazó vállalat nyilvántartást fog vezetni a gyógyszerrel kezelt betegekről, valamint vizsgálatokat

folytat majd a kezelés előnyeinek és kockázatainak további tanulmányozása céljából, beleértve annak lehetőségét, hogy a Myalepta ellenanyagok termelését válthatja ki.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Myalepta biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Myalepta-t forgalmazó vállalat oktatóanyagot fog biztosítani a betegek és az orvosok számára, részletes információkkal arról, hogyan kell alkalmazni a gyógyszert, és mit kell tenni mellékhatások esetén, beleértve az allergiás reakciókat, a hipoglikémiát és a súlyos fertőzéseket.

A Myalepta biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Myalepta alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Myalepta alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Myalepta-val kapcsolatos egyéb információ

További információ a Myalepta gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.