

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

Myalepta (*metreleptine*)

Een overzicht van Myalepta en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Myalepta en wanneer wordt het voorgeschreven?

Myalepta is een geneesmiddel dat naast een dieet wordt gebruikt voor de behandeling van lipodystrofie, waarbij patiënten vetweefsel onder de huid verliezen en sprake is van ophoping van vet elders in het lichaam, zoals in de lever en de spieren. Het geneesmiddel wordt gebruikt bij:

- volwassenen en kinderen ouder dan twee jaar met gegeneraliseerde (door het hele lichaam verspreide) lipodystrofie (Berardinelli-Seip-syndroom en Lawrence-syndroom);
- volwassenen en kinderen ouder dan twaalf jaar met partiële (plaatselijke) lipodystrofie (inclusief Barraquer-Simons-syndroom), wanneer standaardbehandelingen hebben gefaald.

Myalepta bevat de werkzame stof metreleptine.

Aangezien het aantal patiënten met de verschillende vormen van lipodystrofie klein is, worden de ziekten als 'zeldzaam' beschouwd en werd Myalepta op 17 juli 2012 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Hoe wordt Myalepta gebruikt?

Myalepta is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de diagnose en behandeling van patiënten met stofwisselingsstoornissen.

Myalepta wordt via een dagelijkse injectie onder de huid van de buik, dij of bovenarm toegediend, elke dag op hetzelfde tijdstip. De aanbevolen dagelijkse dosis is afhankelijk van het lichaamsgewicht van de patiënt en wordt aangepast op basis van de respons van de patiënt op de behandeling. Patiënten of verzorgers mogen het geneesmiddel zelf injecteren als ze hierin geoefend zijn.

Voor meer informatie over het gebruik van Myalepta, zie de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker.



Hoe werkt Myalepta?

Patiënten met lipodystrofie hebben een lage concentratie van een menselijk hormoon met de naam leptine, dat een rol speelt bij het reguleren van de afbraak van vetten en suikers in het lichaam. Dit leidt tot verlies van vet onder de huid en de ophoping hiervan op plaatsen zoals de lever en spieren, evenals tot hoge vetconcentraties in het bloed. Het resulteert ook in insulineresistentie (waarbij het lichaam niet in staat is tot het herkennen van insuline, een hormoon dat helpt om de bloedsuikerconcentratie te reguleren).

De werkzame stof in Myalepta, metreleptine, is vergelijkbaar met leptine. Deze stof vervangt leptine en verhoogt de vetafbraak in het bloed, de spieren en de lever, waardoor sommige afwijkingen bij patiënten met lipodystrofie (inclusief insulineresistentie) worden gecorrigeerd. Het geneesmiddel herstelt het vetweefsel onder de huid echter niet.

Welke voordelen bleek Myalepta tijdens de studies te hebben?

Myalepta is in twee hoofdstudies onder in totaal 107 volwassenen en kinderen met gegeneraliseerde of partiële lipodystrofie werkzaam gebleken voor het verlagen van de vetconcentratie in het bloed. In deze studies werd Myalepta niet met enige andere behandeling vergeleken. Na twaalf maanden behandeling was de bloedconcentratie van vetten (triglyceriden) van ongeveer 15 mmol/l tot ongeveer 5 mmol/l afgenomen bij patiënten met gegeneraliseerde ziekte, en van ongeveer 16 mmol/l tot ongeveer 6 mmol/l bij patiënten met partiële ziekte.

De insulineresistentie werd ook verbeterd: de bloedconcentratie van een stof met de naam geglycosyleerd hemoglobine (HbA1c), die een indicatie geeft van hoe goed de bloedglucose onder controle is, daalde van 8,6% tot 6,4% bij patiënten met gegeneraliseerde lipodystrofie, en van 8,8% tot 8,0% bij patiënten met partiële lipodystrofie.

Welke risico's houdt het gebruik van Myalepta in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Myalepta (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hypoglykemie (lage bloedglucose) en gewichtsverlies. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Myalepta.

Waarom is Myalepta geregistreerd in de EU?

Het is gebleken dat Myalepta sommige afwijkingen corrigeert die door leptinedeficiëntie worden veroorzaakt bij patiënten met lipodystrofie, een zeldzame aandoening waarvoor weinig behandelingen beschikbaar zijn. De bij Myalepta waargenomen bijwerkingen zijn van het soort dat bij dit type behandeling te verwachten is. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Myalepta groter zijn dan de risico's en dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Myalepta is goedgekeurd 'onder uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Myalepta te verkrijgen. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Myalepta?

Aangezien aan Myalepta registratie onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, zal het bedrijf dat Myalepta in de handel brengt een register opzetten van patiënten die met het geneesmiddel zijn

behandeld, en studies uitvoeren om de voordelen en risico's van behandeling verder te onderzoeken, inclusief de mogelijkheid dat Myalepta aanleiding geeft tot de productie van antilichamen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Myalepta te waarborgen?

Het bedrijf dat Myalepta in de handel brengt, zal patiënten en artsen voorzien van voorlichtingsmateriaal met gedetailleerde informatie over het gebruik van het geneesmiddel en over wat moet worden gedaan in geval van bijwerkingen, waaronder allergische reacties, hypoglykemie en ernstige infecties.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Myalepta, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Myalepta continu in de gaten gehouden. Bijwerkingen waargenomen voor Myalepta worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Myalepta

Meer informatie over Myalepta is te vinden op de website van het Europees

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