



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Myozyme

alglucosidasum alfa

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Myozyme. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek pro používání přípravku Myozyme.

Co je Myozyme?

Myozyme je prášek pro přípravu infuzního roztoku (kapání do žíly). Obsahuje léčivou látku alglukosidázu alfa.

Na co se přípravek Myozyme používá?

Přípravek Myozyme je určen k léčbě pacientů, kteří trpí Pompeho nemocí, což je vzácné dědičné onemocnění. Pacienti s tímto onemocněním nemají dostatek enzymu nazývaného alfa-glukosidáza. Tento enzym obvykle štěpí cukr uložený ve formě glykogenu na glukózu, kterou mohou buňky těla používat jako zdroj energie. Pokud tento enzym není v těle přítomen, glykogen se hromadí v určitých tkáních, zejména ve svalech, včetně srdce a bránice (hlavního dýchacího svalu, který se nachází pod plícemi). Postupné hromadění glykogenu je příčinou široké škály příznaků, včetně zvětšeného srdce, dýchacích potíží a svalové slabosti. Tato nemoc se může projevit hned po narození (tzv. infantilní forma), objevit se však může i později (tzv. pozdní forma).

Jelikož počet pacientů s Pompeho nemocí je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Myozyme byl dne 14. února 2001 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Tento lék je dostupný pouze na lékařský předpis.



Jak se přípravek Myozyme používá?

Léčba přípravkem Myozyme by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou pacientů s Pompeho nemocí nebo jinými dědičnými onemocněními stejného typu.

Přípravek Myozyme se podává jednou za dva týdny ve formě infuze v dávce 20 mg na 1 kg tělesné hmotnosti. Infuze by se měla začít podávat pomalu a její rychlost by se měla postupně zvyšovat, pokud se nevyskytnou žádné vedlejší účinky spojené s infuzí.

Jak přípravek Myozyme působí?

Přípravek Myozyme představuje enzymatickou substituční léčbu. Prostřednictvím enzymatické substituční léčby je pacientům dodáván enzym, který jim chybí. V tomto případě se jedná o alfa-glukosidázu. Léčivá látka v přípravku Myozyme, alfa-glukosidáza alfa, je kopií lidské alfa-glukosidázy a vyrábí se metodou označovanou jako „technologie rekombinantní DNA“: enzym je vytvářen buňkou, do které byl vložen gen (DNA), díky němuž je schopná produkovat enzym. Substituční enzym napomáhá štěpení glykogenu a zabraňuje jeho abnormálnímu hromadění v buňkách.

Jak byl přípravek Myozyme zkoumán?

Přípravek Myozyme byl zkoumán ve dvou hlavních studiích, do kterých bylo zařazeno celkem 39 kojenců a dětí ve věku do tří a půl let s infantilní formou Pompeho nemoci. Tito pacienti byli srovnáváni s „anamnestickou srovnávací skupinou“ kojenců a malých dětí s Pompeho nemocí, kteří nepodstoupili léčbu a neúčastnili se studií. Hlavním měřítkem účinnosti byl počet pacientů, kteří přežili, a počet pacientů, kteří nepotřebovali k dýchání dýchací přístroj.

Přípravek Myozyme byl srovnáván také s placebem (léčbou neúčinným přípravkem) v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 90 pacientů s pozdní formou nemoci. Hlavním měřítkem účinnosti bylo zvětšení vzdálenosti, kterou pacienti dokázali ujít za 6 minut, a zlepšení „usilovné vitální kapacity“ (ukazatele toho, jak dobře pracují plíce). Studie trvala až 18 měsíců.

Jaký přínos přípravku Myozyme byl prokázán v průběhu studií?

V první hlavní studii, do které byli zařazeni kojenci do 6 měsíců věku, se všech 18 pacientů léčených přípravkem Myozyme dožilo věku 18 měsíců, přičemž 15 z nich nepotřebovalo k dýchání dýchací přístroj. V anamnestické srovnávací skupině se oproti tomu ze 42 pacientů jen jeden dožil věku 18 měsíců. Tyto výsledky potvrdila další studie, do které byly zařazeny děti ve věku od 6 měsíců do 3,5 roku.

U pozdní formy nemoci byl v průběhu této studie přípravek Myozyme účinnější než placebo, pokud jde o zvětšení vzdálenosti, kterou pacienti dokázali ujít, a zlepšení funkce plic.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Myozyme?

Mezi nejběžnější vedlejší účinky přípravku Myozyme (zaznamenané u více než 1 pacienta z 10) patřily v průběhu studií u pacientů s infantilní formou Pompeho nemoci tachykardie (zrychlení srdeční činnosti), návaly (zrudnutí), kašel, tachypnoe (zrychlené dýchání), zvracení, kopřivka, vyrážka, pyrexie (horečka) a snížená saturace kyslíkem (nízké hladiny kyslíku v krvi). V rámci studie pozdní formy nemoci vykazovali pacienti mnoho stejných vedlejších účinků, avšak méně často než ve studiích infantilní formy tohoto onemocnění. Téměř všechny vedlejší účinky zaznamenané u přípravku Myozyme se objevily během podávání infuze nebo bezprostředně poté a byly mírné až středně závažné povahy.

Úplný seznam vedlejších účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Myozyme je uveden v příbalových informacích.

U pacientů, kterým je podán přípravek Myozyme, může dojít k tvorbě protilátek (v reakci na podání přípravku Myozyme se tvoří bílkoviny). Vliv těchto protilátek na bezpečnost a účinnost přípravku Myozyme dosud nebyl objasněn.

Přípravek Myozyme nesmějí užívat osoby, které měly v minulosti anafylaktickou (závažnou alergickou) reakci na alglukosidázu alfa nebo na kteroukoli jinou složku přípravku, která ohrožovala jejich život a kterou nebylo možné kontrolovat podáváním přípravku formou pomalejší infuze a snížením dávky.

Na základě čeho byl přípravek Myozyme schválen?

Výbor CHMP rozhodl, že přínosy přípravku Myozyme převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného používání přípravku Myozyme?

Společnost, která léčivý přípravek Myozyme vyrábí, zavádí program pro zajištění bezpečného používání přípravku Myozyme, a to zejména pomocí sledování způsobu tvorby protilátek u pacientů léčených tímto přípravkem, zavedení rejstříku přístupného všem pacientům trpících Pompeho nemocí a zajištění informovanosti lékařů ohledně možných reakcí pacientů na infuze.

Další informace o přípravku Myozyme

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Myozyme platné v celé Evropské unii společnosti Genzyme Europe B.V. dne 29. března 2006. Registrace je platná po neomezenou dobu.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Myozyme je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Další informace o léčbě přípravkem Myozyme naleznete v příbalových informacích (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Myozyme, vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění, je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 01-2014.