



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Myozyme

Alglucosidase alfa

Das vorliegende Dokument ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Myozyme, in dem erläutert wird, wie der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) das Arzneimittel beurteilt hat, um zu seinem befürwortenden Gutachten zur Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen und seinen Empfehlungen zu den Anwendungsbedingungen für Myozyme zu gelangen.

Was ist Myozyme?

Myozyme ist ein Pulver zur Herstellung einer Infusionslösung (Tropfinfusion in eine Vene). Es enthält den Wirkstoff Alglucosidase alfa.

Wofür wird Myozyme angewendet?

Myozyme wird zur Behandlung von Patienten mit Morbus Pompe, einer seltenen Erbkrankheit, angewendet. Patienten, die an Morbus Pompe leiden, haben zu wenig von einem Enzym namens Alpha-Glucosidase. Normalerweise baut dieses Enzym als Glykogen gespeicherten Zucker in Glukose ab, die von den Körperzellen als Energie verwendet werden kann. Ist das Enzym nicht vorhanden, reichert sich Glykogen in bestimmten Geweben an, insbesondere in den Muskeln, einschließlich Herz und Zwerchfell (der Hauptatemmuskel unter der Lunge). Die fortschreitende Anreicherung von Glykogen führt zu vielfältigen Symptomen, einschließlich Herzvergrößerung, Atembeschwerden und Muskelschwäche. Die Krankheit kann bei Geburt (infantile Verlaufsform) aber auch später (späte Verlaufsform) auftreten.

Da es nur wenige Patienten mit Morbus Pompe gibt, gilt die Krankheit als selten, und Myozyme wurde am 14. Februar 2001 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.



Wie wird Myozyme angewendet?

Die Behandlung mit Myozyme sollte von einem Arzt überwacht werden, der Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit Morbus Pompe oder anderen Erbkrankheiten dieses Typs hat.

Myozyme wird als Infusion mit 20 mg pro Kilogramm Körpergewicht einmal alle zwei Wochen verabreicht. Die Infusion sollte langsam eingeleitet und dann schrittweise beschleunigt werden, solange keine Anzeichen von Nebenwirkungen durch die Infusion auftreten.

Wie wirkt Myozyme?

Myozyme ist eine Enzymersatztherapie, die Patienten mit dem Enzym versorgt, an dem es ihnen mangelt, in diesem Fall Alpha-Glucosidase. Der Wirkstoff in Myozyme, Alglucosidase alfa, ist eine Kopie der menschlichen Alpha-Glucosidase, die nach einer Methode hergestellt wird, die als „rekombinante DNA-Technologie“ bezeichnet wird: Das Enzym wird von einer Zelle produziert, in die ein Gen (DNA) eingebracht wurde, das sie zur Bildung des Enzyms befähigt. Das Ersatzenzym unterstützt den Abbau von Glykogen und unterbindet seine abnormale Anreicherung in den Zellen.

Wie wurde Myozyme untersucht?

Myozyme wurde in zwei Hauptstudien mit insgesamt 39 Säuglingen und Kindern im Alter von bis zu dreieinhalb Jahren untersucht, die an Morbus Pompe mit infantiler Verlaufsform litten. Diese Patienten wurden mit an Morbus Pompe leidenden Säuglingen und Kleinkindern einer „historischen Vergleichsgruppe“ verglichen, die keine Behandlung erhalten hatten und nicht an den Studien beteiligt waren. Die Hauptindikatoren für die Wirksamkeit waren die Anzahl der Patienten, die überlebten, sowie die Anzahl der Patienten, die keine Beatmungshilfe benötigten.

Darüber hinaus wurde Myozyme mit Placebo (einer Scheinbehandlung) in einer Hauptstudie an 90 Patienten verglichen, die an Morbus Pompe mit später Verlaufsform litten. Die Hauptindikatoren für die Wirksamkeit waren die Verbesserung bei der Entfernung, die die Patienten in sechs Minuten gehen konnten, sowie die Verbesserung ihrer „forcierten Vitalkapazität“ (ein Wert, der anzeigt, wie gut ihre Lungen arbeiten). Die Studie dauerte bis zu 18 Monate.

Welchen Nutzen hat Myozyme in diesen Studien gezeigt?

In der ersten Hauptstudie an Säuglingen im Alter von unter sechs Monaten waren alle 18 mit Myozyme behandelten Patienten mit 18 Monaten noch am Leben und 15 von ihnen benötigten keine Beatmungshilfe. Von den 42 Patienten der historischen Vergleichsgruppe war hingegen nur ein Patient mit 18 Monaten noch am Leben. Die Ergebnisse wurden in der anderen Studie bestätigt, an der Kinder im Alter von sechs Monaten bis dreieinhalb Jahren beteiligt waren.

Bei der späten Verlaufsform der Krankheit war Myozyme im Verlauf der Studie sowohl hinsichtlich der Verbesserung der Entfernung, die die Patienten gehen konnten, als auch hinsichtlich der Verbesserung ihrer Lungenfunktion wirksamer als Placebo.

Welches Risiko ist mit Myozyme verbunden?

Während der Studien bei Patienten mit Morbus Pompe mit infantiler Verlaufsform waren die häufigsten Nebenwirkungen von Myozyme (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) Tachykardie (Herzrasen), Rötungen, Husten, Tachypnoea (Kurzatmigkeit), Erbrechen, Urtikaria (Nesselausschlag), Hautausschlag, Pyrexie (Fieber) und verringerte Sauerstoffsättigung (geringe Sauerstoffkonzentration im Blut). In der Studie zur späten Verlaufsform traten bei Patienten viele der gleichen Nebenwirkungen

auf, doch wurden diese seltener beobachtet als in den Studien zur infantilen Verlaufsform. Nahezu alle der bei Myozyme beobachteten Nebenwirkungen traten während oder unmittelbar nach der Infusion auf und waren leicht oder mittelschwer. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Myozyme berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Patienten, denen Myozyme verabreicht wird, können Antikörper entwickeln (Proteine, die als Reaktion auf Myozyme produziert werden). Die Wirkung dieser Antikörper auf die Sicherheit und Wirksamkeit von Myozyme ist noch nicht eindeutig geklärt.

Myozyme darf nicht bei Personen angewendet werden, bei denen eine lebensbedrohliche anaphylaktische (schwerwiegende allergische) Reaktion auf Alglucosidase alfa oder einen der sonstigen Bestandteile auftrat, die durch Verabreichung des Arzneimittels bei langsamerer Infusionsgeschwindigkeit und niedrigerer Dosierung nicht behandelt werden konnte.

Warum wurde Myozyme zugelassen?

Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass die Vorteile von Myozyme gegenüber den Risiken überwiegen, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren Anwendung von Myozyme ergriffen?

Der Hersteller von Myozyme wird einen Plan erstellen, um zu gewährleisten, dass Myozyme sicher angewendet wird, indem hauptsächlich überwacht wird, wie Patienten, die Myozyme erhalten, Antikörper entwickeln, und indem ein für alle Morbus Pompe-Patienten zugängliches Register eingeführt und sichergestellt wird, dass die Ärzte über eventuelle Reaktionen der Patienten auf die Infusion Bescheid wissen.

Weitere Informationen über Myozyme

Am 29. März 2006 erteilte die Europäische Kommission dem Unternehmen Genzyme Europe B.V. eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Myozyme in der gesamten Europäischen Union. Die Genehmigung für das Inverkehrbringen gilt ohne zeitliche Begrenzung.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Myozyme finden Sie auf der Website der Agentur unter ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Myozyme benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Myozyme finden Sie auf der Website der Agentur unter ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 01-2014 aktualisiert.