



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/58201/2014
EMA/H/C/000636

Sintesi destinata al pubblico

Myozyme

alglucosidasi alfa

Questo documento è la sintesi di una relazione di valutazione pubblica europea (EPAR) per Myozyme. L'EPAR illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole alla concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Myozyme.

Che cos'è Myozyme?

Myozyme è una polvere per la preparazione di una soluzione per infusione (flebo in vena). Contiene il principio attivo alglucosidasi alfa.

Per che cosa si usa Myozyme?

Myozyme è utilizzato per il trattamento di pazienti con la malattia di Pompe, una rara malattia ereditaria. Nei pazienti che ne sono affetti si osserva la carenza di un enzima chiamato alfa-glucosidasi. Questo enzima normalmente scompone lo zucchero immagazzinato come glicogeno in glucosio, che le cellule dell'organismo possono usare per produrre energia. In mancanza di tale enzima il glicogeno si accumula in alcuni tessuti, in particolare nei muscoli, fra cui il cuore e il diaframma (il principale muscolo respiratorio sotto i polmoni). L'accumulo progressivo di glicogeno è causa di un'ampia gamma di sintomi, quali ingrossamento del cuore, difficoltà respiratorie e debolezza muscolare. La malattia può manifestarsi alla nascita (forma a "insorgenza infantile"), ma anche in una fase successiva (forma a "insorgenza tardiva").

Poiché il numero di pazienti con la malattia di Pompe è esiguo, la malattia è considerata "rara", e Myozyme è stato qualificato "medicinale orfano" (medicinale usato per curare malattie rare) il 14 febbraio 2001.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.



Come si usa Myozyme?

Il trattamento con Myozyme deve avvenire sotto il controllo di un medico esperto nella gestione di pazienti affetti dalla malattia di Pompe o da altre malattie ereditarie dello stesso tipo.

Il medicinale è somministrato sotto forma di infusione da 20 mg per chilogrammo di peso corporeo una volta ogni due settimane. L'infusione deve iniziare lentamente ed essere quindi accelerata in modo graduale purché non vi siano segnali di effetti indesiderati ad essa ascrivibili.

Come agisce Myozyme?

Myozyme è una terapia enzimatica sostitutiva, ossia volta a fornire ai pazienti l'enzima di cui sono carenti, in questo caso l'alfa-glucosidasi. Il principio attivo di Myozyme, l'alglucosidasi alfa, è una copia dell'enzima umano alfa-glucosidasi, prodotta con la cosiddetta "tecnologia del DNA ricombinante". Attraverso tale metodologia si inserisce in una cellula un gene (DNA) che la rende capace di produrre l'enzima. L'enzima sostitutivo favorisce la scomposizione del glicogeno impedendone l'accumulo anormale nelle cellule.

Quali studi sono stati effettuati su Myozyme?

Myozyme è stato oggetto di due studi principali condotti su un totale di 39 neonati e bambini fino all'età di tre anni e mezzo affetti da malattia di Pompe a insorgenza infantile. Tali pazienti sono stati confrontati con un "gruppo di confronto storico" di neonati e bambini piccoli con malattia di Pompe che non erano stati sottoposti a trattamento e non avevano preso parte agli studi. Quali principali indicatori dell'efficacia sono stati considerati il numero dei pazienti sopravvissuti e il numero dei pazienti che non necessitavano un ventilatore come ausilio alla respirazione.

Myozyme è stato inoltre confrontato con placebo (trattamento fittizio) in uno studio principale su 90 pazienti con malattia a insorgenza tardiva. Le principali misure dell'efficacia erano rappresentate dall'incremento della distanza che i pazienti riuscivano a percorrere camminando in sei minuti e dalla "capacità vitale forzata" (una misura della funzionalità dei loro polmoni). Lo studio è durato 18 mesi.

Quali benefici ha mostrato Myozyme nel corso degli studi?

Nel primo studio principale, condotto su bambini di età inferiore a sei mesi, tutti i 18 pazienti trattati con Myozyme erano vivi all'età di 18 mesi, e 15 di essi non avevano bisogno di un ventilatore come ausilio alla respirazione. Per contro, soltanto uno dei 42 pazienti del gruppo di confronto storico era vivo all'età di 18 mesi. I risultati sono stati confermati dall'altro studio, a cui hanno partecipato bambini di età compresa tra sei mesi e tre anni e mezzo.

Nella malattia a insorgenza tardiva, Myozyme si è dimostrato più efficace del placebo nel migliorare sia la distanza che i pazienti riuscivano a percorrere camminando sia la loro funzionalità polmonare durante lo studio.

Qual è il rischio associato a Myozyme?

Nel corso degli studi su pazienti con malattia di Pompe a insorgenza infantile gli effetti indesiderati più comuni di Myozyme (osservati in più di 1 paziente su 10) sono stati tachicardia (rapida frequenza dei battiti cardiaci), vampe (rossore), tosse, tachipnea (veloce ritmo respiratorio), vomito, orticaria (eruzione cutanea con prurito), eruzione cutanea, piressia (febbre) e ridotta saturazione di ossigeno (bassi livelli di ossigeno nel sangue). Nello studio relativo alla forma a insorgenza tardiva, i pazienti manifestavano molti di questi stessi effetti indesiderati, pur se con una frequenza minore rispetto a

quella rilevata negli studi sulla malattia a insorgenza infantile. Quasi tutti gli effetti indesiderati connessi a Myozyme si sono verificati durante o immediatamente dopo l'infusione e hanno avuto intensità lieve o moderata. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Myozyme, si rimanda al foglio illustrativo.

I pazienti che assumono Myozyme possono sviluppare anticorpi (proteine prodotte in risposta a Myozyme). L'effetto di questi anticorpi sulla sicurezza e sull'efficacia di Myozyme non è ancora chiaro.

Myozyme non deve essere utilizzato in soggetti che hanno avuto una reazione anafilattica pericolosa per la vita (reazione allergica grave) all'α-glucosidasi alfa o a uno qualsiasi degli altri eccipienti, non controllabile somministrando il medicinale a un ritmo di infusione inferiore e a una dose ridotta.

Perché è stato approvato Myozyme?

Il CHMP ha deciso che i benefici di Myozyme sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro di Myozyme?

La società produttrice di Myozyme sta elaborando un piano per assicurare che Myozyme venga usato in modo sicuro, soprattutto monitorando come si sviluppano gli anticorpi nei pazienti trattati con Myozyme, creando un registro aperto a tutti i pazienti affetti dalla malattia di Pompe e assicurando che i medici siano al corrente delle potenziali reazioni all'infusione.

Altre informazioni su Myozyme

Il 29 marzo 2006 la Commissione europea ha rilasciato alla Genzyme Europe B.V. un'autorizzazione all'immissione in commercio per Myozyme, valida in tutta l'Unione europea. L'autorizzazione all'immissione in commercio è valida per un periodo illimitato.

La versione completa dell'EPAR di Myozyme può essere consultata sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Myozyme, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il proprio medico o farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani per Myozyme è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ultimo aggiornamento di questa sintesi: 01-2014.