



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myalepta (*metreleptina*)

Sintesi di Myalepta e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Myalepta e per cosa si usa?

Myalepta è un medicinale indicato in aggiunta alla dieta per il trattamento della lipodistrofia, in cui i pazienti presentano una perdita di tessuto adiposo sotto la pelle e accumulo di grasso in altre parti dell'organismo, come nel fegato e nei muscoli. Il medicinale viene utilizzato:

- negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni affetti da lipodistrofia generalizzata (intero organismo) (sindrome di Berardinelli Seip e sindrome di Lawrence);
- negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 12 anni affetti da lipodistrofia parziale (localizzata) (compresa la sindrome di Barraquer Simons), quando le terapie standard non hanno dato i risultati sperati.

Myalepta contiene il principio attivo metreleptina.

Poiché il numero di pazienti affetti dalle varie forme di lipodistrofia è basso, le malattie sono considerate "rare" e Myalepta è stato definito come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 17 luglio 2012.

Come si usa Myalepta?

Myalepta può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere avviato e monitorato da un medico esperto nella diagnosi e nella gestione di pazienti con disturbi metabolici.

Myalepta viene somministrato una volta al giorno mediante un'iniezione sotto la cute dell'addome (pancia), della coscia o della parte superiore del braccio, ogni giorno alla stessa ora. La dose giornaliera raccomandata dipende dal peso corporeo del paziente e viene aggiustata in base alla risposta del paziente alla terapia. I pazienti o le persone che si prendono cura di loro possono praticare l'iniezione del medicinale da soli previa formazione.

Per maggiori informazioni sull'uso di Myalepta, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.



Come agisce Myalepta?

I pazienti affetti da lipodistrofia hanno bassi livelli di un ormone umano chiamato leptina, che svolge un ruolo chiave nella regolazione della metabolizzazione dei grassi e degli zuccheri nell'organismo. Ciò comporta la perdita di grasso sotto la pelle e il suo accumulo in punti come il fegato e i muscoli, nonché alti livelli di grasso nel sangue. Inoltre, comporta la resistenza insulinica (quando l'organismo non è in grado di riconoscere l'insulina, un ormone che aiuta a regolare i livelli di zucchero nel sangue).

Il principio attivo contenuto in Myalepta, la metreleptina, è simile alla leptina. Sostituisce la leptina e aumenta la metabolizzazione del grasso nel sangue, nei muscoli e nel fegato, correggendo così alcune anomalie nei pazienti affetti da lipodistrofia, tra cui la resistenza insulinica. Tuttavia, il medicinale non ripristina il tessuto adiposo sottocutaneo.

Quali benefici di Myalepta sono stati evidenziati negli studi?

Myalepta si è rivelato efficace nel ridurre i livelli di grasso nel sangue in 2 studi principali condotti su un totale di 107 adulti e bambini con lipodistrofia generalizzata o parziale. In questi studi Myalepta non è stato confrontato con altri trattamenti. Dopo 12 mesi di trattamento, i livelli ematici di grassi (trigliceridi) sono diminuiti, passando da circa 15 mmol/l a circa 5 mmol/l nei pazienti con malattia generalizzata e da circa 16 mmol/l a circa 6 mmol/l nei pazienti con malattia parziale.

Anche la resistenza insulinica è migliorata: i livelli ematici di una sostanza chiamata emoglobina glicosilata (HbA1c), che dà un'indicazione dell'efficacia del controllo del glucosio nel sangue, sono scesi dall'8,6% al 6,4% nei pazienti con lipodistrofia generalizzata e dall'8,8% all'8,0% nei pazienti con lipodistrofia parziale.

Quali sono i rischi associati a Myalepta?

Gli effetti indesiderati più comuni di Myalepta (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono ipoglicemia (bassi livelli di glucosio nel sangue) e calo ponderale. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni rilevati con Myalepta, vedere il foglio illustrativo.

Perché Myalepta è autorizzato nell'UE?

È stato dimostrato che Myalepta è in grado di correggere alcune anomalie causate da carenza di leptina nei pazienti con lipodistrofia, una condizione rara per la quale sono disponibili pochi trattamenti. Gli effetti indesiderati osservati con Myalepta sono del tipo previsto da questo tipo di trattamento. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Myalepta sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

Myalepta è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Myalepta a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Myalepta?

Poiché Myalepta è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Myalepta istituirà un registro dei pazienti trattati con il medicinale e svolgerà studi per approfondire i benefici e i rischi del trattamento, compresa la possibilità per Myalepta di innescare la produzione di anticorpi.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Myalepta?

La ditta che commercializza Myalepta fornirà materiale didattico a pazienti e medici con informazioni dettagliate su come utilizzare il medicinale e quali misure adottare in caso di effetti indesiderati, tra cui reazioni allergiche, ipoglicemia e infezioni gravi.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Myalepta sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Myalepta sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Myalepta sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Myalepta

Ulteriori informazioni su Myalepta sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.