



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myalepta (*metreleptīns*)

Myalepta pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Myalepta* un kāpēc tās lieto?

Myalepta ir zāles, kuras lieto papildus diētai lipodistrofijas ārstēšanai, kad pacienti zaudē zemādas taukaudus un viņiem tauki uzkrājas citur organismā, piemēram, aknās un muskuļos. Šīs zāles lieto:

- pieaugušajiem un bērniem no 2 gadu vecuma, kuriem ir ģeneralizēta (visu ķermeni skarōša) lipodistrofija (Berardinelli-Seipa (*Berardinelli-Seip*) sindroms un Lorensa (*Lawrence*) sindroms);
- pieaugušajiem un bērniem no 12 gadu vecuma, kuriem ir parciāla (lokalizēta) lipodistrofija (tostarp Barakera-Saimonsa (*Barraquer-Simons*) sindroms), kad standarta terapija ir bijusi nesekmīga.

Myalepta satur aktīvo vielu metreleptīnu.

Tā kā dažādu lipodistrofijas formu pacientu skaits ir mazs, šīs slimības tiek uzskatītas par retām un 2012. gada 17. jūlijā *Myalepta* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Kā lieto *Myalepta*?

Myalepta var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam, kuram ir pieredze vielmaiņas traucējumu diagnostikā un ārstēšanā pacientiem.

Myalepta katru dienu vienā un tai pašā laikā injicē zem vēdera, augšstilba vai augšdelma ādas. Ieteicamā dienas deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas un tiek pielāgota, ņemot vērā pacienta atbildes reakciju uz ārstēšanu. Ja pacienti vai aprūpētāji ir apmācīti, viņi var paši injicēt šīs zāles.

Papildu informāciju par *Myalepta* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Myalepta* darbojas?

Pacientiem ar lipodistrofiju ir zems par leptīnu saukta cilvēka hormona līmenis. Šis hormons ir galvenais, kas regulē tauku un cukuru sadalīšanos organismā. Tas izraisa zemādas tauku zudumu un to uzkrāšanos tādās vietās kā aknas un muskuļi, kā arī augstu taukvielu līmeni asinīs. Tā rezultātā



veidojas arī rezistence pret insulīnu (kad organisms nespēj atpazīt insulīnu – hormonu, kas palīdz regulēt cukura līmeni asinīs).

Myalepta aktīvā viela metreleptīns ir līdzīga leptīnam. Tas aizvieto leptīnu un veicina taukvielu sadalīšanos asinīs, muskuļos un aknās, šādi novēršot dažas patoloģijas pacientiem ar lipodistrofiju, tostarp rezistenci pret insulīnu. Tomēr šīs zāles neatjauno zemādas taukaudus.

Kādi *Myalepta* ieguvumi atklāti pētījumos?

Divos galvenajos pētījumos, iesaistot kopumā 107 pieaugušos un bērnus ar ģeneralizētu vai parciālu lipodistrofiju, pierādīts, ka *Myalepta* efektīvi pazemina taukvielu līmeni asinīs. Šajos pētījumos *Myalepta* nesalīdzināja ar citiem ārstēšanas veidiem. Pēc 12 terapijas mēnešiem taukvielu (triglicerīdu) līmenis asinīs pazeminājās no aptuveni 15 mmol/l līdz aptuveni 5 mmol/l pacientiem ar ģeneralizētu slimību, un no aptuveni 16 mmol/l līdz aptuveni 6 mmol/l pacientiem ar parciālu slimību.

Mazinājās arī rezistence pret insulīnu: par glikozēto hemoglobīnu (HbA1c) dēvētās vielas līmenis asinīs, kas liecina, cik labi tiek kontrolēts glikozes līmenis asinīs, pazeminājās no 8,6 % līdz 6,4 % pacientiem ar ģeneralizētu distrofiju un no 8,8 % līdz 8,0 % pacientiem ar parciālu lipodistrofiju.

Kāds risks pastāv, lietojot *Myalepta*?

Visbiežākās *Myalepta* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir hipoglikēmija (zems glikozes līmenis asinīs) un ķermeņa masas samazināšanās. Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Myalepta*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Myalepta* ir reģistrētas ES?

Pierādīts, ka *Myalepta* novērš dažas leptīna deficīta izraisītās novirzes pacientiem ar lipodistrofiju – retu slimību, kuras ārstēšanai pieejams maz līdzekļu. Novērotās *Myalepta* blakusparādības ir tādas, kādas paredzamas, lietojot šā veida zāles. Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Myalepta*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Myalepta ir reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Myalepta*. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Myalepta* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Myalepta* ir reģistrētas izņēmuma kārtā, uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Myalepta*, izveidos ar šīm zālēm ārstēto pacientu reģistru un veiks pētījumus, lai sīkāk pētītu terapijas ieguvumus un risku, tostarp iespēju, ka *Myalepta* ierosina antivielu veidošanos.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Myalepta* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Myalepta*, nodrošinās pacientiem un ārstiem izglītojošus materiālus, kurā sniegta detalizēta informācija par šo zāļu lietošanu un rīcību tad, ja rodas blakusparādības, tostarp alerģiskas reakcijas, hipoglikēmija un smagas infekcijas.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Myalepta* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Myalepta* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Myalepta* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Myalepta*

Sīkāka informācija par *Myalepta* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).