



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Myalepta (*metreleptina*)

Um resumo sobre o Myalepta e porque está autorizado na UE

### O que é Myalepta e para que é utilizado?

Myalepta é um medicamento utilizado como adjuvante da dieta para tratar a lipodistrofia, uma condição em que os doentes apresentam perda de tecido gordo subcutâneo e acumulação de gordura noutra local do corpo, como no fígado e músculos. O medicamento é utilizado em:

- adultos e crianças com mais de 2 anos de idade com lipodistrofia generalizada (em todo o corpo) (síndrome de Berardinelli-Seip e síndrome de Lawrence);
- adultos e crianças com mais de 12 anos de idade com lipodistrofia parcial (localizada) (incluindo síndrome de Barraquer-Simons), quando os tratamentos convencionais falharam.

Myalepta contém a substância ativa metreleptina.

Dado o número de doentes afetados pelas várias formas de lipodistrofia ser pequeno, as doenças são consideradas raras, pelo que o Myalepta foi designado medicamento órfão (um medicamento utilizado em doenças raras) a 17 de julho de 2012.

### Como se utiliza Myalepta?

Myalepta só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e monitorizado por um médico com experiência no diagnóstico e tratamento de doentes com doenças metabólicas.

Myalepta é administrado na forma de uma injeção diária sob a pele do abdómen (barriga), coxa ou zona superior do braço, à mesma hora todos os dias. A dose diária recomendada depende do peso corporal do doente e é ajustada com base na resposta do doente ao tratamento. Os próprios doentes ou os prestadores de cuidados podem injetar o medicamento depois de receberem um treino adequado.

Para mais informações sobre a utilização de Myalepta, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.



## Como funciona Myalepta?

Os doentes com lipodistrofia têm níveis baixos de uma hormona humana chamada leptina, que desempenha um papel importante na regulação da decomposição de gorduras e açúcares no organismo. Isto conduz a perda de gordura subcutânea e à sua acumulação em locais como o fígado e músculos, bem como níveis elevados de gordura no sangue. Também resulta em resistência à insulina (quando o corpo é incapaz de reconhecer a insulina, uma hormona que ajuda a regular os níveis de açúcar no sangue).

A substância ativa do Myalepta, a metreleptina, é semelhante à leptina. Substitui a leptina e aumenta a decomposição no sangue, músculos e fígado, corrigindo assim algumas anomalias nos doentes com lipodistrofia, incluindo a resistência à insulina. No entanto, o medicamento não restaura o tecido gordo subcutâneo.

## Quais os benefícios demonstrados pelo Myalepta durante os estudos?

Myalepta demonstrou ser eficaz a reduzir os níveis de gordura no sangue em 2 estudos principais envolvendo um total de 107 adultos e crianças com lipodistrofia generalizada ou parcial. Nesses estudos, Myalepta não foi comparado com nenhum outro tratamento. Após 12 meses de tratamento, os níveis de gordura no sangue (triglicéridos) diminuíram de cerca de 15 mmol/l para cerca de 5 mmol/l em doentes com doença generalizada, e de cerca de 16 mmol/l para cerca de 6 mmol/l em doentes com doença parcial.

A resistência à insulina também melhorou: os níveis sanguíneos de uma substância chamada hemoglobina glicosilada (HbA1c), que dá uma indicação de quão bem a glicose está controlada, desceram de 8,6% para 6,4% em doentes com lipodistrofia generalizada, e de 8,8% para 8,0% em doentes com lipodistrofia parcial.

## Quais são os riscos associados a Myalepta?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Myalepta (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são hipoglicemia (níveis reduzidos de glicose no sangue) e a perda de peso. Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições com Myalepta, consulte o Folheto Informativo.

## Porque está Myalepta autorizado na UE?

Myalepta demonstrou corrigir algumas anomalias causadas pela deficiência em leptina em doentes com lipodistrofia, uma condição rara para a qual estão disponíveis poucos tratamentos. Os efeitos secundários observados com Myalepta são do tipo previsto para este tipo de tratamento. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Myalepta são superiores aos seus riscos e que o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Myalepta foi autorizado em circunstâncias excecionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Myalepta devido à raridade da doença. A Agência Europeia de Medicamentos procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

## Que informação ainda se aguarda sobre Myalepta?

Dado que Myalepta foi autorizado em circunstâncias excecionais, a empresa que comercializa o Myalepta irá criar um registo de doentes tratados com o medicamento e irá realizar estudos para

investigar os benefícios e riscos do tratamento, incluindo a possibilidade de Myalepta desencadear a produção de anticorpos.

### **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Myalepta?**

A empresa que comercializa o Myalepta irá fornecer materiais educativos aos doentes e médicos com informação detalhada sobre como utilizar o medicamento e o que fazer em caso de efeitos secundários, incluindo reações alérgicas, hipoglicemia e infeções graves.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Myalepta.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Myalepta são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Myalepta são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

### **Outras informações sobre Myalepta**

Mais informações sobre Myalepta podem ser encontradas no sítio da internet da

Agência: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).