



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myalepta (*metreleptín*)

Prehľad o lieku Myalepta a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Myalepta a na čo sa používa?

Myalepta je liek, ktorý sa používa ako doplnok k diéte na liečbu lipodystrofie, u ktorej pacienti trpia stratou tukových tkanív pod kožou a tvorbou tukov na iných miestach tela, akými sú pečeň a svaly. Tento liek sa používa u:

- dospelých a detí starších ako 2 roky so všeobecnou lipodystrofiou (po celom tele) (syndrómom Berardinelli Seip a Lawrencovým syndrómom);
- dospelých a detí starších ako 12 rokov s čiastočnou (lokalizovanou) lipodystrofiou (vrátane Barraquer Simonsovho syndrómu), keď štandardná liečba zlyhala.

Liek Myalepta obsahuje liečivo metreleptín.

Keďže počet pacientov s rôznymi formami lipodystrofie je nízky, tieto ochorenia sa považujú za zriedkavé a preto bol liek Myalepta 17. júla 2012 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia.

Ako sa liek Myalepta používa?

Výdaj lieku Myalepta je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s diagnostikou a liečbou pacientov s poruchami metabolizmu.

Myalepta sa podáva denne pod kožu na bruchu, stehne alebo hornej časti ramena, a to každý deň v rovnakom čase. Odporúčaná denná dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta a upravuje sa podľa odpovede pacienta na liečbu. Po zaškolení si môžu liek vpichovať sami pacienti alebo opatrovníci.

Viac informácií o používaní lieku Myalepta si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

Akým spôsobom liek Myalepta účinkuje?

Pacienti s lipodystrofiou majú nízke hladiny ľudského hormónu nazývaného leptín, ktorý zohráva kľúčovú úlohu pri regulácii rozpadu tukov a cukrov v tele. To vedie k strate tuku pod kožou a k jeho tvorbe na miestach, akými sú pečeň a svaly, ako aj k vysokej hladine tuku v krvi. Výsledkom je tiež



rezistencia na inzulín (keď telo nie je schopné rozpoznať inzulín, hormón, ktorý pomáha regulovať hladinu cukru v krvi).

Liečivo lieku Myalepta, metreleptín, je podobné leptínu. Nahrádza leptín a zvyšuje rozkladanie tukov v krvi, svaloch a pečeni, čím koriguje niektoré abnormality u pacientov s lipodystrofiou vrátane rezistencie na inzulín. Avšak liek neobnovuje tukové tkanivo pod kožou.

Aké prínosy lieku Myalepta boli preukázané v štúdiách?

V dvoch hlavných štúdiách zahŕňajúcich celkovo 107 dospelých a detí so všeobecnou alebo čiastočnou lipodystrofiou sa preukázalo, že liek Myalepta je účinný pri znižovaní hladín krvného tuku. V týchto štúdiách sa liek Myalepta neporovnával so žiadnou inou liečbou. Po 12 mesiacoch liečby sa u pacientov so všeobecným ochorením znížili hladiny tukov (triglyceridov) v krvi z približne 15 mmol/l na približne 5 mmol/l a u pacientov s čiastočnou chorobou z približne 16 mmol/l na približne 6 mmol/l.

Zlepšila sa aj rezistencia na inzulín: hladiny látky nazývanej glykozylovaný hemoglobín (HbA1c) v krvi, ktoré ukazujú, ako dobre je regulovaná hladina glukózy v krvi, klesli z 8,6 % na 6,4 % u pacientov so všeobecnou lipodystrofiou a z 8,8 % na 8,0 % u pacientov s čiastočnou lipodystrofiou.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Myalepta?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Myalepta (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú hypoglykémia (nízka hladina cukru v krvi) a strata telesnej hmotnosti. Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení týkajúcich sa lieku Myalepta sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Myalepta povolený v EÚ?

Ukázalo sa, že liek Myalepta upravuje niektoré abnormality spôsobené nedostatkom leptínu u pacientov s lipodystrofiou, čo je zriedkavý stav, na ktorý existuje len niekoľko možností liečby. Vedľajšie účinky pozorované pri používaní lieku Myalepta sú také, aké sa očakávajú od tohto typu liečby. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Myalepta sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Liek Myalepta bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Myalepta. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Myalepta dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Myalepta bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá uvádza liek Myalepta na trh, vytvorí register pacientov liečených týmto liekom a uskutoční štúdie na ďalšie preskúmanie prínosov a rizík liečby, vrátane možnosti, aby liečba Myalepta vyvolala tvorbu protilátok.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Myalepta?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Myalepta na trh, poskytne pacientom a lekárom vzdelávacie materiály s podrobnými informáciami o tom, ako používať liek a čo robiť v prípade vedľajších účinkov vrátane alergických reakcií, hypoglykémie a závažných infekcií.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Myalepta boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Myalepta sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Myalepta sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Myalepta

Ďalšie informácie o lieku Myalepta sa nachádzajú na webovom sídle agentúry: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).