



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/31154/2011
EMEA/H/C/000636

Resumen del EPAR para el público general

Myozyme

alglucosidasa alfa

En el presente documento se resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Myozyme. En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización y unas recomendaciones sobre las condiciones de su uso.

¿Qué es Myozyme?

Myozyme es un polvo que se disuelve en una solución para perfusión (goteo en una vena), que contiene el principio activo alglucosidasa alfa.

¿Para qué se utiliza Myozyme?

Myozyme se utiliza para el tratamiento de pacientes adultos afectados por la enfermedad de Pompe, un raro trastorno hereditario. Los pacientes con la enfermedad de Pompe sufren insuficiencia de una enzima denominada alfa-glucosidasa. En condiciones normales, esta enzima descompone el azúcar acumulado en forma de glucógeno y lo transforma en glucosa que las células del organismo pueden utilizar como energía. Si la enzima no está presente, el glucógeno se acumula en ciertos tejidos, en especial los musculares, incluidos el corazón y el diafragma (el principal músculo respiratorio, situado bajo los pulmones). La progresiva acumulación de glucógeno causa una amplia variedad de síntomas, incluido un aumento del volumen cardíaco, dificultades respiratorias y debilidad muscular. La enfermedad puede manifestarse en el momento del nacimiento (la variante 'con inicio en la infancia') pero también en un momento posterior (la variante 'de inicio tardío'). Dado el escaso número de pacientes que padecen la enfermedad de Pompe, esta enfermedad se considera «rara», y Myozyme fue designado «medicamento huérfano» (medicamento utilizado en enfermedades raras) el 14 de febrero de 2001.

Este medicamento sólo podrá dispensarse con receta médica.



¿Cómo se usa Myozyme?

El tratamiento con Myozyme deberá estar supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes afectados por la enfermedad de Pompe u otras enfermedades hereditarias del mismo tipo.

Myozyme se utiliza en perfusión de 20 mg por kilogramo de peso corporal, una vez cada dos semanas. La perfusión debe iniciarse lentamente y a continuación incrementarse gradualmente en la medida en no haya signos de los efectos provocados por la perfusión.

¿Cómo actúa Myozyme?

Myozyme es una terapia de sustitución enzimática. La terapia de sustitución enzimática aporta al paciente la enzima de la que carece, en este caso, la glucosidasa alfa. El principio activo de Myozyme, la alglucosidasa alfa, es una copia de la alfa-glucosidasa humana, producida por un método conocido como "tecnología del ADN recombinante". La enzima es producida por una célula que ha recibido un gen (ADN) que le permite producirla. La enzima de sustitución contribuye a descomponer el glucógeno y detiene su acumulación anormal en las células.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Myozyme?

Myozyme se ha estudiado en dos estudios principales en los que participaron 39 bebés y niños de hasta tres años y medio con la variante infantil de la enfermedad de Pompe. Estos pacientes fueron comparados con un «grupo histórico de comparación» de niños y jóvenes afectados de la enfermedad de Pompe que no habían sido tratados ni participaron en los estudios. El principal criterio de eficacia fue el número de pacientes que sobrevivieron y el número de pacientes que no necesitaron de respiración asistida mediante ventilador.

Myozyme también ha sido comparado con placebo (un tratamiento ficticio) en un estudio principal sobre 90 pacientes con una variante tardía de la enfermedad. Los principales criterios de eficacia fueron la mejora de la distancia que los pacientes podían recorrer en seis minutos y su 'capacidad vital forzada' (una medida de hasta qué punto sus pulmones funcionaban bien). El estudio tuvo una duración de 18 meses.

¿Qué beneficio ha demostrado tener Myozyme durante los estudios?

En el primer estudio principal, realizado en bebés menores de seis meses, los 18 pacientes tratados con Myozyme seguían vivos a los 18 meses de edad, y 15 de estos pacientes además no precisaban ventilación mecánica. Por el contrario, solo uno de los 42 pacientes en el grupo histórico de comparación seguía vivo a los 18 meses de edad. Los resultados fueron confirmados en el otro estudio, realizado en niños de entre seis meses y tres años y medio.

En el inicio tardío de la enfermedad, Myozyme fue más eficaz que el placebo tanto a la hora de mejorar la distancia que los pacientes podían recorrer como su función pulmonar a lo largo del estudio. No obstante, dado que la enfermedad de Pompe en su inicio tardío empeora a un ritmo menor que en su inicio infantil, los beneficios acreditados por Myozyme a partir de este estudio se consideran limitados.

¿Cuál es el riesgo asociado a Myozyme?

Durante los estudios en pacientes con inicio infantil de la enfermedad de Pompe, los efectos secundarios más frecuentes observados con Myozyme (en más de 1 paciente de cada 10) fueron taquicardia (ritmo cardíaco acelerado), rubor (enrojecimiento), tos, taquipnea (aumento del ritmo respiratorio), vómitos, urticaria (picores), erupción cutánea, pirexia (fiebre) y una menor saturación

del oxígeno (niveles bajos de oxígeno en sangre). En el estudio de la enfermedad manifestada tardíamente, los pacientes presentaron muchos efectos secundarios similares, pero fueron percibidos con menos frecuencia que en los estudios de la enfermedad manifestada en la infancia. Casi todos los efectos secundarios constatados con Myozyme ocurrieron durante o justo después de la perfusión y fueron suaves o moderados. La lista completa de efectos secundarios comunicados sobre Myozyme puede consultarse en el prospecto.

Los pacientes que reciben Myozyme pueden desarrollar anticuerpos (proteínas producidas como respuesta a Myozyme). El efecto de los anticuerpos sobre la seguridad y la eficacia de Myozyme todavía no está claro.

Myozyme no debe utilizarse en personas que hayan sufrido una reacción anafiláctica con riesgo de defunción (alergia grave) a la alglucosidasa alfa o a cualquiera de los demás componentes, que no podría tratarse administrando el medicamento a un ritmo menor de infusión y a una dosis reducida.

¿Por qué se ha aprobado Myozyme?

El CHMP decidió que los beneficios de Myozyme son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro de Myozyme?

La empresa que fabrica Myozyme está poniendo en práctica un plan para garantizar que Myozyme se utiliza de manera segura, principalmente haciendo un seguimiento de cómo los pacientes que reciben Myozyme podrían desarrollar anticuerpos, poniendo en práctica un registro para todos los afectados por la enfermedad de Pompe, y garantizando que los médicos conocen las reacciones de la infusión.

Otras informaciones sobre Myozyme

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Myozyme a Genzyme Europe B.V. el 29 de marzo de 2006. La autorización de comercialización tiene validez ilimitada.

El texto completo del EPAR de Myozyme puede encontrarse en el sitio web de la Agencia en ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Para más información sobre el tratamiento con Myozyme, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Myozyme puede consultarse en el sitio web de la Agencia en ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 01-2014.