

Informacja Europejskiej Agencji Leków

Ograniczona dostępność produktu leczniczego Myozyme i zalecenia dotyczące stosowania leku w pierwszej kolejności u dzieci

16 stycznia 2009 r.

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (*Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP*) z ramienia Europejskiej Agencji Leków (*European Medicines Agency*) EMEA zalecił, aby niemowlęta, dzieci i młodzież byli leczeni preparatem Myozyme (alglukozydaza alfa) w pierwszej kolejności. Podmiotem odpowiedzialnym dla produktu Myozyme jest firma Genzyme. Taki sposób postępowania jest zalecany podczas spodziewanych ograniczeń w dostępności produktu leczniczego w okresie najbliższych kilku miesięcy. Zalecenia te zostały przygotowane, aby zapewnić możliwość otrzymywania produktu Myozyme przez pacjentów z tych grup wiekowych w czasie gdy podmiot odpowiedzialny będzie rozwiązywał problem ograniczenia dostaw.

Ograniczenia w dostępności produktu zostały spowodowane zwiększonym zapotrzebowaniem na ten produkt leczniczy, jak również problemami z produkcją leku w niektórych miejscach wytwarzania. Obecnie prowadzone są prace nad rozwiązaniem tych problemów i firma farmaceutyczna pracuje nad zwiększeniem możliwości produkcyjnych. W tym czasie przygotowane zostały zalecenia, aby wskazać lekarzom sposób postępowania w przypadku braku leku.

Preparat Myozyme jest wskazany w leczeniu pacjentów z chorobą Pompego, rzadkim wrodzonym niedoborem enzymatycznym. Choroba Pompego prowadzi do postępującego spichrzania glikogenu w niektórych tkankach, szczególnie w sercu i innych mięśniach. Powoduje to szeroka gamę objawów i oznak, włączając powiększenie serca, trudności w oddychaniu i osłabienie siły mięśni. Kiedy choroba objawia się we wczesnym wieku, postępuje szybko i nieleczona zwykle powoduje zgon. Choroba Pompego może również wystąpić u dorosłych, wówczas postęp choroby jest wolniejszy i rzadziej zagraża życiu.

Zatwierdzony schemat dawkowania zaleca podawanie leku we wlewie dożylnym 1 raz na dwa tygodnie

U noworodków, dzieci i młodzieży (wczesne wystąpienie choroby u pacjentów) następuje szybki postęp choroby i te grupy pacjentów narażone są na ryzyko odległych w czasie zaburzeń rozwojowych, dlatego Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi zaleca:

- U noworodków, dzieci i młodzieży należy kontynuować leczenie preparatem Myozyme. W razie potrzeby w tych grupach wiekowych można bez ograniczeń rozpocząć terapię tym preparatem.

- U dorosłych pacjentów nie należy rozpoczynać nowych terapii z zastosowaniem preparatu Myozyme. Lekarze prowadzący pacjentów już leczonych powinni rozważyć czasowe przerwanie terapii (do czasu wyeliminowania problemów z zaopatrzeniem), Wyjątek stanowią pacjenci, u których taka sytuacja może powodować konsekwencje zagrażające życiu.

Powyższe zalecenia mają charakter tymczasowy i nie powodują zmian w obecnie zatwierdzonej informacji o leku dla produktu leczniczego Myozyme. Zalecenia te mają zastosowanie do czasu rozwiązania problemów z dostępnością leku przez firmę.

Dalsze informacje:

1. Szczegółowe informacje, dotyczące produktu leczniczego Myozyme, w tym zatwierdzona obecnie informacja o leku, są dostępne w Europejskim Publicznym Raporcie Oceniającym (EPAR *European Public Assessment Report*):

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm>

2. Ten komunikat prasowy, łącznie z innymi informacjami dotyczącymi Europejskiej Agencji Leków, są dostępne na stronie internetowej Agencji EMEA:

www.emea.europa.eu