



Indikation, Wirksamkeit und Sicherheit von Myozyme

Myozyme ist jetzt in vielen Ländern weltweit auf dem Markt. Für viele Menschen ist allein die Tatsache, dass es jetzt eine Behandlung für Morbus Pompe gibt eine großartige Neuigkeit. Bevor Sie mit der Behandlung mit Myozyme, die eine lebenslange Therapie ist, beginnen können, müssen Sie sicher sein, dass die Behandlung für Sie geeignet ist und dass die Kosten dafür erstattet werden. Wenn bei Ihnen die Diagnose „Morbus Pompe“ gesichert ist, ist das mit Sicherheit der Fall. Sie werden dann bestimmt wissen wollen, wie wirksam und wie sicher die Behandlung bei Ihnen, Ihrem Kind oder Ihrem Angehörigen ist. Genzyme hat eine ganze Reihe von klinischen Studien zur Sicherheit und Wirksamkeit von Myozyme durchgeführt und es laufen dazu derzeit noch einige Studien. Hier erhalten Sie viele Informationen, die Sie bei der Entscheidung über eine mögliche Behandlung unterstützen sollen.



F Wer sollte die Behandlung mit Myozyme bekommen?

A Myozyme ist eine Enzymersatztherapie (EET) für Morbus Pompe. In der Medikamenteninformation für Europa heißt es: „Myozyme ist für die langfristige Enzymersatztherapie bei Patienten mit gesichertem Morbus Pompe (Mangel an saurer alpha-Glukosidase) indiziert. Für die positive Wirkung von Myozyme bei Patienten mit

Morbus Pompe in später Verlaufsform liegen bisher keine Daten vor.“

In der Medikamenten-information für die USA steht: „Myozyme (Alglucosidase alfa) ist für die Behandlung von Patienten mit Morbus Pompe indiziert. Es konnte nachgewiesen werden, dass Myozyme bei Patienten mit der infantilen Verlaufsform – verglichen mit

Andere Bezeichnungen für Morbus Pompe

Mangel an saurer Alpha-Glukosidase, Mangel an saurer Maltase (engl.: acid maltase deficiency – AMD), Glykogenspeicherkrankheit, Glykogenose Typ II und lysosomaler Alpha-Glukosidase-Mangel.

Indikation, Effektivität und Wirksamkeit von Myozyme (Fortsetzung)

einer nicht behandelten historischen Vergleichsgruppe – zu einer verbesserten Überlebensrate ohne Beatmungsunterstützung führt. Die Wirksamkeit und Sicherheit von Myozyme bei anderen Verlaufsformen von Morbus Pompe ist noch nicht ausreichend durch klinische Studien belegt.“

Die Medikamenteninformation in Kanada lautet ähnlich wie in den USA.

F Was sind die Ergebnisse der klinischen Studien für Myozyme?

A Sowohl für Patienten mit der infantilen Verlaufsform als auch für ältere Pompe-Patienten wurden eine ganze Reihe klinischer Studien durchgeführt. Die Ergebnisse dieser Studien führten zur Zulassung von Myozyme in der Europäischen Union, den USA und Kanada. Die Studien dienen auch als Grundlage, um die Zulassung in zahlreichen anderen Ländern im Laufe der nächsten Jahre voranzutreiben.

Eine zentrale Rolle beim Nachweis von Wirksamkeit und Sicherheit von Myozyme spielte dabei eine Studie, die im Jahr 2003 begonnen wurde. In dieser Studie haben 83% der Patienten das Alter von 18 Monaten erreicht und benötigten zu diesem Zeitpunkt keine invasive Atmungsunterstützung. Bei einer historischen Vergleichsgruppe dagegen war das nur bei 2% der Fall. Bei den Studienpatienten wurde die Enzyersatztherapie im Alter von maximal 6 Monaten begonnen. Bei ungefähr 39% der Patienten kam es zu

infusionsbedingten Reaktionen, die jedoch meist leicht bis gemäßigt waren. Bei zwei Patienten traten schwere Infusionsreaktionen auf.

In einer zweiten klinischen Studie bekamen 21 Babys und Kleinkinder (6 Monate bis 3,5 Jahre) mit rasch voranschreitendem und schwererem Krankheitsverlauf für eine Dauer von 52 Wochen alle 2 Wochen Myozyme mit einer Dosis von 20 mg/kg Körpergewicht (26 Infusionen). Nach 52 Behandlungswochen betrug die Überlebensrate 73%, verglichen mit 37% bei einer unbehandelten Kontrollgruppe. Von 10 Patienten, die zu Studienbeginn nicht invasiv beatmet wurden, waren nach Ablauf der 52 Wochen noch 50% ohne invasive Beatmung.

Auf den englischsprachigen Webseiten www.clinicaltrials.gov oder www.worldpompe.org erfahren Sie mehr über die klinischen Studien von Myozyme.

F Wie wirksam ist Myozyme?

A Bei praktisch allen infantilen Pompepatienten zeigte sich eine Verbesserung der Herzfunktion sowie eine Stabilisierung oder eine Verbesserung der Wachstumsparameter.

Bei den motorischen Funktionen und Atmungsfunktionen waren die Reaktionen auf die Behandlung weit unterschiedlicher. Bei den Babys und Kleinkindern, die sich motorisch weiterentwickelten, waren auch zu Beginn der Studie die motorischen

Indikation, Effektivität und Wirksamkeit von Myozyme (Fortsetzung)

Funktionen besser erhalten, und sie hatten weniger Glykogenablagerungen im Quadrizeps. Bei einem größeren Teil von Patienten, bei denen sich die motorischen Funktionen verbesserten, waren die Wachstumsparameter (insbesondere das Gewicht) stabil oder verbesserten sich. Bei fast allen infantilen Patienten konnte – unabhängig von den motorischen oder anderen Parametern – beobachtet werden, dass die Kardiomyopathie (Herzbeteiligung) zurückging.

Die Ergebnisse deuten darauf hin, dass die Behandlungserfolge größer sind, je früher die Diagnose gestellt und mit der Behandlung begonnen wird.

F Wie sicher ist Myozyme? (siehe auch „Vorsichtsmaßnahmen bei der Behandlung mit Myozyme“)

A Es wurden keine Studien zu Wechselwirkungen mit anderen Medikamenten durchgeführt. Es ist jedoch unwahrscheinlich, dass es bei Myozyme zu Wechselwirkungen mit anderen Medikamenten kommt, da es sich um ein rekombinant hergestelltes humanes Protein handelt.

Es wurden keine Studien zu Auswirkungen von Myozyme auf die Verkehrstüchtigkeit oder das Bedienen von Maschinen durchgeführt. Es gibt auch keine Untersuchungen zu Wechselwirkungen von Myozyme und Alkohol.

Sofern es nicht absolut notwendig ist, sollte Myozyme nicht während der Schwangerschaft verabreicht werden. Es wird empfohlen, während der Anwendung von Myozyme nicht zu stillen, da Alglucosidase alfa in die Muttermilch übergehen könnte.

Während der Behandlung mit Myozyme sollte gewährleistet sein, dass die notwendigen medizinischen Notfallmaßnahmen sofort eingeleitet werden können. Auf den folgenden Webseiten erfahren Sie mehr über mögliche Nebenwirkungen von Myozyme:

Für Europa:

www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPA_R/myozyme/myozome.html

Um den Zulassungstext der europäischen Zulassungsbehörde EMEA auf Deutsch zu lesen, klicken Sie bitte bei "Product Information" auf DE (für Deutsch).

Für die USA und andere nicht-europäische Länder:

www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.Label_AprouvalHistory

Diese Broschüre hat zum Ziel, allgemeine Informationen zum genannten Thema zur Verfügung zu stellen. Die Veröffentlichung ist ein Service der International Pompe Association, und es wird ausdrücklich darauf hingewiesen, dass die International Pompe Association keinesfalls medizinische oder andere professionelle Dienstleistungen erbringt. Die Medizin ist eine Wissenschaft, die ständigen Veränderungen unterworfen ist. Bedingt durch Fehler und Änderungen in der Behandlung kann keine Gewähr für die vollständige Exaktheit einer solch komplexen Materie übernommen werden. Es ist unabdingbar, diese Informationen von anderen Quellen, insbesondere dem betreuenden Arzt absichern zu lassen.

