



Indicatie, effectiviteit en veiligheid van Myozyme

In vele landen op de wereld is Myozyme voor Pompe patiënten op de markt. Voor veel mensen is het feit dat er een behandeling is om de symptomen van de ziekte van Pompe tegen te gaan welkom nieuws. U dient zich echter te realiseren dat de behandeling met Myozyme naar alle waarschijnlijkheid een behandeling voor het leven zal zijn. Natuurlijk moet u voordat u met de behandeling van Myozyme begint, weten of u hiervoor in aanmerking komt en of de behandeling vergoed wordt. Indien u gediagnosticeerd bent met de ziekte van Pompe, zal het antwoord waarschijnlijk 'ja' zijn. Natuurlijk wilt u weten hoe effectief en veilig de behandeling voor u, uw kind of familielid zal zijn. Genzyme heeft een aantal klinische studies uitgevoerd om de veiligheid en werkzaamheid van Myozyme te evalueren. Daarnaast zijn er nog verschillende studies gaande om de behandeling verder te bestuderen. Deze publicatie voorziet u van de informatie om u te ondersteunen bij het nemen van beslissingen over uw mogelijke behandeling met Myozyme.



V Wie moet behandeld worden met Myozyme?

A Myozyme is een enzym vervangende therapie voor de ziekte van Pompe. In Europa kunt u op de bijsluiter het volgende lezen: “Myozyme is geïndiceerd voor langdurige enzym vervangende therapie bij patiënten met een bevestigde diagnose van de ziekte van Pompe (zure alpha glucosidase deficiëntie). De voordelen van

Myozyme bij patiënten met de late onset vorm van de ziekte van Pompe zijn nog niet bevestigd”.

In de Verenigde Staten, zegt de bijsluiter voor Myozyme: “Myozyme (alglucosidase alfa) is geïndiceerd voor patiënten met de ziekte van Pompe (GAA deficiëntie). Ten opzichte van een onbehandelde historische controlegroep, verbetert Myozyme de overlevingsperiode van patiënten met de

Andere namen voor de ziekte van Pompe

Zure alpha-glucosidase deficiëntie, Zure maltase deficiëntie, Glycogeen stapelingsziekte type II, Glycogenose II en Lysosomale alpha-glucosidase deficiëntie.

Indicatie, effectiviteit en veiligheid van Myozyme (vervolg)

infantiele vorm van de ziekte, zonder dat ze gebruik maken van beademing. De werking van Myozyme bij patiënten met andere vormen van de ziekte van Pompe is nog niet adequaat bestudeerd om de veiligheid en werkzaamheid te garanderen”.

De bijsluiter in Canada is gelijk aan die van in Verenigde Staten.

V Wat zijn de resultaten van klinische studies met Myozyme?

A Een aantal klinische studies zijn uitgevoerd bij baby's en oudere Pompe patiënten. De resultaten van veel van deze studies hebben geleid tot de goedkeuring van Myozyme in de Europese Unie, Verenigde Staten en Canada, en ze zullen de komende jaren ook gebruikt worden om goedkeuring voor Myozyme in andere landen te verkrijgen.

Een klinische studie, welke in 2003 startte, was van zeer groot belang in het bewijzen van de werkzaamheid en veiligheid van Myozyme. In deze studie was 83 procent van de behandelde patiënten met Myozyme in leven en had geen beademing nodig op de leeftijd van 18 maanden, vergeleken met 2 procent van de patiënten in de historische groep. 18 baby's met de ziekte van Pompe namen aan deze studie deel. Deze patiënten begonnen op een leeftijd van 6 maanden en jonger met de behandeling. Ongeveer 39 procent van deze patiënten ontwikkelden aan de infusie gerelateerde reacties, die echter voor het grootste gedeelte mild tot matig van aard waren. Twee patiënten ontwikkelden ernstige reacties op de infusies.

In een tweede klinische studie deden 21 oudere baby's en peuters met de ernstig progressieve vorm van de ziekte van Pompe mee. Bij deze patiënten was de ziekte veelal in een ver gevorderd stadium. Hun leeftijd varieerde van 6 maanden tot 3.5 jaar. Zij kregen elke twee weken 20 mg/kg Myozyme toegediend gedurende een periode van 52 weken (26 infusies). Na 52 weken behandeling lieten de resultaten een overlevingscijfer van 73 procent zien vergeleken met een overlevingscijfer van 37 procent in een onbehandelde referentie groep. Bij 10 patiënten, die geen beademing nodig hadden aan het begin van de studie, was 50 procent nog steeds onafhankelijk van beademing na 52 weken behandeling.

Meer informatie over klinische studies met Myozyme kunt u vinden op www.clinicaltrials.gov of www.worldpompe.org

V Hoe effectief is Myozyme?

A Het grootste gedeelte van de baby's met de ziekte Pompe die behandeld werd met Myozyme, liet een verbetering zien in de hartfunctie en een stabilisatie of verbetering in de groeicurve.

De effecten van de Myozyme behandeling op de motoriek en de ademhaling waren gevarieerder. Hoe lager de glycoeen-stapeling in de quadriceps spier (dijbeenspier) en hoe beter de motorische functie aan het begin van de studie, des te groter was de motorische verbetering na de

Indicatie, effectiviteit en veiligheid van Myozyme (vervolg)

studie. Een verbetering van de motorische functie bleek samen te gaan met een verbetering in de groeicurve (met name het gewicht). De meeste baby's vertoonden, ongeacht hun motorische functie aan het begin van de klinische studie, een vermindering van de cardiomyopathie (een afwijking aan de hartspier).

De resultaten van de data laten zien dat hoe eerder de diagnose gesteld wordt en hoe sneller de behandeling bij baby's begint, des te groter de kans op een positief resultaat zal zijn.

V Hoe veilig is Myozyme? (Zie eveneens Voorzorgmaatregelen bij de behandeling met Myozyme)

A Er zijn geen studies gedaan naar de wisselwerking van Myozyme met andere medicijnen. Maar omdat Myozyme een recombinant humaan eiwit is, is het onwaarschijnlijk dat er een conflicterende reactie met andere medicijnen zal optreden.

Er zijn geen studies gedaan naar de invloed van Myozyme op het besturen van een auto of een machine. Er zijn ook geen testen gedaan ten aanzien van de mogelijke negatieve wisselwerking tussen alcohol en Myozyme.

Myozyme moet niet gebruikt worden tijdens zwangerschap tenzij dit absoluut noodzakelijk is. Het wordt aanbevolen om tijdens de behandeling met Myozyme te stoppen met borstvoeding. Alglucosidase alfa kan uitgescheiden worden in de borstvoeding.

De juiste medische ondersteuning moet direct beschikbaar zijn als Myozyme wordt toegediend. Meer informatie over de mogelijke bijwerkingen kunt u vinden op de volgende websites:

Indien u in Europa woont, kijk op:

www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm

(Om deze informatie in het Nederlands te kunnen lezen, volg dan de instructies in de publicatie *Bronnen voor meer informatie* van de *Treatment Edition* op pagina 6)

Indien u in de Verenigde Staten of andere landen buiten Europa woont, kijk dan op:

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

Deze publicatie is bedoeld om algemene informatie te verstrekken en wordt verspreid door de International Pompe Association als service, met dien verstande dat de International Pompe Association geen medische of andere professionele dienstverlening verricht. De medische wetenschap is constant in beweging en menselijke fouten en veranderingen in de praktijk maken het onmogelijk om de exacte nauwkeurigheid van zulke complexe materialen te bepalen. Bevestiging van deze informatie vanuit andere bronnen, vooral de eigen arts, is noodzakelijk.