



## Myozyme'in kullanım alanı, etkililiği ve güvenliliği

**M**yozyme dünya çapında birçok ülkede Pompe hastalarının kullanımına sunulmuştur. Tıpkı sizin gibi pek çok insan için, Pompe hastalığının semptomlarıyla mücadele etmek için bir tedavinin var olduğu gerçeği mutluluk verici bir haberdır. Kuşkusuz, Myozyme ile muhtemelen yaşam boyu sürecek tedaviye başlayabilmenizden önce, potansiyel bir aday olup olmadığınızı ve sigortanızın bu ilacın geri ödeyip ödemeyeceğini bilmeniz gerekmektedir. Eğer size Pompe hastalığı tanısı konduysa, yanıt muhtemelen evet olacaktır. Doğal olarak, bu tedavinin sizin için, çocuğunuz veya aile üyeniz için ne kadar etkili ve güvenli olacağı konusunda kaygılarınız vardır. Genzyme, Myozyme'in güvenlilik ve etkinliğini değerlendirmek üzere çok sayıda araştırma yürütmüş bulunmaktadır ve bu tedaviyi araştırmaya devam etmek üzere çalışmalar halen sürdürülmektedir. Bu kitapçık, potansiyel Myozyme tedavinizle ilgili bilinçli kararlar vermenize yardımcı olacak bilgileri size sunmaktadır.



### **S** Kimler Myozyme kullanmalıdır?

**C** Myozyme, Pompe hastalığı için enzim yerine koyma tedavisidir (EYT). Avrupa'da Myozyme etiketinde şunlar yazılıdır: *Myozyme, doğrulanmış Pompe hastalığı (asit alfa glukozidaz yetersizliği) tanısı olan hastalarda uzun dönemli enzim yerine koyma tedavisi (EYT) için endikedir. Myozyme'in geç başlangıçlı Pompe hastalığı olan hastalardaki yararları kanıtlanmamıştır.*

Amerika Birleşik Devletleri'nde Myozyme etiketinde şunlar yazılıdır: *Myozyme (alglukozidaz alfa), Pompe hastalığı (GAA yetersizliği) olan hastalarda kullanım için endikedir. Myozyme'in bebeklik çağında başlayan Pompe hastalığı olan hastalarda vantilatörsüz sağkalımı tedavi edilmeyen tarihsel bir kontrole kıyasla arttırdığı gösterilmiştir; ancak Myozyme'in Pompe hastalığının diğer formları olan hastalardaki kullanımı, güvenlilik ve etkinliği garanti edecek yeterlilikte araştırılmamıştır.*



### **Pompe hastalığının diğer adları**

Asit alfa-glukozidaz yetersizliği, asit maltaz yetersizliği (AMY), tip II glikojen depo hastalığı (GDH), glikojenoz II ve lizozomal alfa-glukozidaz yetersizliği.

## Myozyme'in kullanım alanı, etkililiği ve güvenliliği (devam)

Kanada'daki etiket Amerika Birleşik Devletleri'ndeki etiketle benzerdir.

### **S** Myozyme ile yapılan klinik çalışmaların sonuçları nelerdir?

**C** Hem bebek hem daha büyük Pompe hastalarında çok sayıda klinik çalışma yürütülmüştür. Bu araştırmaların birçoğundan elde edilen sonuçlar, Myozyme'in Avrupa Birliği, Amerika Birleşik Devletleri ve Kanada'da onaylanmasına yol açmıştır ve bu sonuçlar Myozyme'in önümüzdeki birkaç yıl içinde diğer birçok ülkede onaylanmasını desteklemek için kullanılacaktır.

2003 yılında başlatılan öncü bir klinik araştırma, Myozyme'in etkinlik ve güvenliliğinin kanıtlanmasında özellikle yardımcı olmuştur. Bu araştırmada, Myozyme ile tedavi edilen hastaların yüzde 83'ü on sekiz aylık yaşta hem sağ hem invazif vantilatör desteğinden bağımsız bulunurken, bu oran tarihsel gruptaki hastaların yalnızca yüzde ikisi olarak saptanmıştır. Bu çalışmaya Pompe hastalığı olan 18 bebek kaydedilmiştir. Bu hastalar altı aylık veya daha küçük yaşta tedavi almaya başlamıştır. Myozyme ile tedavi edilen hastaların yaklaşık yüzde 39'unda infüzyonla bağımlı reaksiyonlar gelişmiş ve bunlar çoğunlukla hafif ila orta dereceli olmuştur. İki hasta ciddi infüzyon reaksiyonları yaşamıştır.

İkinci bir klinik çalışmada, hızla ilerleyen ve daha ileri Pompe hastalığı olan 21 daha büyük bebek ve yürümeye başlayan çocuk (6 aylık ila 3.5 yaş arası) 52 hafta süreyle 2 haftada bir 20 mg/kg Myozyme (26 infüzyon) almıştır. Bu 52 haftalık tedaviden sonra elde edilen sonuçlar yüzde 73 gibi bir sağkalım oranı gösterirken, bu oran tedavi edilmeyen referans grupta yüzde 37 olarak bulunmuştur. Araştırma başladığında invazif vantilatör desteğine bağımlı olmayan 10 hastanın yüzde 50'si 52 haftalık tedaviden sonra da bu durumunu korumuştur.

Myozyme klinik çalışmaları hakkında daha fazla bilgi edinmek için, lütfen [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) veya [www.worldpompe.org](http://www.worldpompe.org) web sitelerini ziyaret ediniz

### **S** Myozyme ne kadar etkili?

**C** Myozyme ile tedavi edilen Pompe hastalığı olan bebeklerin büyük çoğunluğu kalp fonksiyonunda düzelmelerin yanı sıra, büyüme parametrelerinde dengelenme ya da düzelmeler göstermiştir.

Tedaviye motor ve solunum yanıtları daha değişken olmuştur. Pompe hastalığı olan, motor kazanımlar gösteren bebeklerin klinik çalışmaların başlangıç noktasında motor fonksiyonu daha fazla korunmuş ve kuadriseps kastaki glikojen içeriği daha düşük bulunmuştur. Daha iyi motor sonuçları olan hastaların yüksek bir oranı büyüme parametrelerinde (özellikle kilo)

## Myozyme'in kullanım alanı, etkililiği ve güvenliliği (devam)

dengelenme ya da düzelme göstermiştir. Motor sonuçları ya da klinik çalışmaların başlangıcında ölçülen özellikleri ne olursa olsun, bebek hastaların çoğunluğu kardiyomiyopatide (bir kalp kası bozukluğu) düzelme göstermektedir.

Veri sonuçları, bebek hastalarda tanı ve tedavi ne kadar erken olursa, olumlu sonuç alma olasılığının o kadar yüksek olduğunu göstermektedir.

### **S** Myozyme ne kadar güvenli? (Ayrıca Tedavi Önlemleri bölümüne bakınız)

**C** Myozyme'in diğer ilaçlarla nasıl etkileşim gösterebileceğini belirlemek için resmi herhangi bir araştırma yapılmamıştır. Bununla birlikte, Myozyme rekombinant insan proteini olduğundan, ilaç etkileşimlerinin olması olası görülmemektedir.

Myozyme'in araç ve makine kullanma yeteneği üzerindeki etkilerine ilişkin herhangi bir araştırma yapılmamıştır. Alkol ile Myozyme arasındaki etkileşime ilişkin herhangi bir test yapılmamıştır.

Myozyme mutlak gereklilik olmadıkça gebelik sırasında kullanılmamalıdır. Glukozidaz alfa meme sütüne geçebileceğinden, Myozyme ile tedavi sırasında emzirmenin kesilmesi önerilmektedir.

Myozyme uygulandığında uygun tıbbi destek önlemleri hemen kullanıma hazır olmalıdır. Myozyme'in potansiyel yan etkileriyle ilgili daha ayrıntılı bilgi için, aşağıdaki web sitelerini ziyaret ediniz:

Eğer Amerika Birleşik Devletleri ya da Avrupa dışındaki diğer ülkelerde yaşıyorsanız, [www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.LabelApprovalHistory](http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.LabelApprovalHistory) web sitesini ziyaret ediniz.

Eğer Avrupa'da yaşıyorsanız, [www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm](http://www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm) web sitesini ziyaret ediniz.

Bu yayın, kapsanan konuyla ilgili genel bilgi sağlamak amacıyla tasarlanmıştır. Uluslararası Pompe Derneği tarafından bir kamu hizmeti olarak dağıtılmaktadır ve Uluslararası Pompe Derneği, tıbbi veya diğer mesleki hizmetler sunma amacını taşımamaktadır. Tıp sürekli değişmekte olan bir bilimdir. İnsan hatası ve uygulamadaki değişiklikler, böylesi karmaşık materyallerin kesin doğruluğunu garanti etmeyi olanaksız kılmaktadır. Bu bilgilerin diğer kaynaklar, özellikle de hastanın kendi hekimi tarafından doğrulanması gerekmektedir. Myozyme'in etkililiğinin kişiden kişiye farklılık gösterdiğini lütfen unutmayınız.