



MYALEPTA® ▼

(Metreleptin-Pulver zur Herstellung
einer Injektionslösung)

INFORMATIONEN FÜR MEDIZINISCHES FACHPERSONAL

Dieses Informationsmaterial ist in Verbindung mit der Zusammenfassung
der Produktmerkmale (Fachinformation) zu verwenden und zu lesen.



Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden: Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen, Traisengasse 5, 1200 Wien, Österreich

Website: <http://www.basg.gv.at> Fax: 050 555-36207 E-Mail: nebenwirkung@basg.gv.at
Formular: [Online-Meldung von Nebenwirkungen human – Angaben zur meldenden Person – BASG](#)

Inhaltsverzeichnis

Ziele und Angaben zur Nutzung des Informationsmaterials.....2

Myalepta: Indikationen und mögliche klinische Ergebnisse.....2

Indikationen für die Anwendung von Myalepta3

Punkte, die vor der Verschreibung zu beachten sind.....3

Informationen zur Risikominderung für Patienten..... 4

Spezifische Risikobereiche..... 4

Verschreibung von Myalepta und zugehörige Hilfsmittel..... 8

Aufnahme von Patienten in das Myalepta-Patientenregister10

Checkliste: Beratung der Patienten.....11

Abgabe von Myalepta und Hilfsmitteln.....11

Zusammenfassung..... 12

Referenzen 12

Dieses Informationsmaterial dient folgenden Zwecken

- Dieses Schulungsmaterial wurde im Rahmen der Risikominimierungsmaßnahmen erstellt, die Teil des Myalepta-Risikomanagementplans sind, mit dem Ziel:
- Eine Anleitung bereitzustellen, die sicherstellt, dass Myalepta nur für geeignete Patienten verschrieben wird.
 - Ärzte, Pflegekräfte und Apotheker über Nutzen und Risiken von Myalepta zu informieren und so eine fundierte Beratung der Patienten oder ihrer Betreuungspersonen zu ermöglichen.
 - Gesundheitsfachkräfte in korrekter Dosierung, Zubereitung und Anwendung von Myalepta zu schulen, einschließlich gezieltem Patiententraining, um eine wirksame und fehlerfreie Behandlung zu gewährleisten.
 - Ärzte, Pflegekräfte und Apotheker über die angemessene Verschreibung und Bereitstellung notwendiger Hilfsmittel für Zubereitung und Verabreichung von Myalepta zu informieren.

Myalepta: Indikation und mögliche klinische Ergebnisse

HINTERGRUND ZUR ERKRANKUNG

Lipodystrophien sind eine heterogene Gruppe seltener Erkrankungen, die durch einen teilweisen oder vollständigen Verlust von Fettgewebe gekennzeichnet sind und entweder vererbt oder erworben sein können.¹ Patienten mit Lipodystrophie leiden häufig unter früh einsetzenden metabolischen Komplikationen, die durch das Fehlen von Fettgewebe und den damit verbundenen Leptinmangel verursacht werden.^{2,3} Bei gesunden Menschen ist Leptin ein Schlüsselhormon, das vom Fettgewebe produziert wird und eine Vielzahl metabolischer Funktionen erfüllt.^{2,4}

Der Mangel an Fettgewebe und Leptin bei Lipodystrophiepatienten kann eine Reihe von Störungen verursachen, wie: Hypertriglyzeridämie und ektopische Fettablagerung, Hyperglykämie infolge einer ausgeprägten Insulinresistenz, unstillbarer Hunger aufgrund fehlender Sättigungssignale.^{1,2} Ohne Behandlung des zugrunde liegenden Leptinmangels

kann eine Therapie mit Diät, Antidiabetika oder Lipidsenkern nur begrenzte Erfolge erzielen.⁵

MYALEPTA UND DIE BEHANDLUNG DER LIPODYSTROPHIE

Myalepta (Metreleptin) ist eine Leptin-Ersatztherapie und wird in Kombination mit einer Diät eingesetzt, um die Folgen des Leptinmangels bei Patienten mit Lipodystrophie zu behandeln.⁶ Durch Ausgleich des Leptinmangels zeigen sich Verbesserungen bei folgenden Komplikationen:

- Hyperphagie,
- Hypertriglyzeridämie,
- Insulinresistenz und Diabetes.

Einige Patienten können dadurch die Dosis ihrer antidiabetischen oder lipidsenkenden Therapie reduzieren oder diese sogar absetzen.⁶

Indikationen für die Anwendung von Myalepta

Myalepta ist eine Leptin-Ersatztherapie, die in Kombination mit einer Diät zur Behandlung der Folgen eines Leptinmangels bei Patienten mit Lipodystrophie (LD) eingesetzt wird:

- mit bestätigter angeborener generalisierter LD (Berardinelli-Seip-Syndrom) oder erworbener generalisierter LD (Lawrence-Syndrom) bei Erwachsenen und Kindern ab 2 Jahren
- mit bestätigter familiärer partieller LD oder erworbener partieller LD (Barraquer-Simons-Syndrom) bei Erwachsenen und Kindern ab 12 Jahren, bei denen durch Standardbehandlungen keine angemessene Einstellung des Stoffwechsels erreicht werden konnte.⁶

Die Behandlung mit Myalepta sollte durch Ärzte eingeleitet und überwacht werden, die Erfahrung in der Diagnose und Therapie metabolischer Erkrankungen haben. Es ist erforderlich, regelmäßige Nachkontrollen mit dem Patienten bzw. der Pflegeperson durchzuführen, um die fortlaufend korrekte und regelkonforme Rekonstitution sowie Anwendung von Myalepta sicherzustellen.

Punkte, die vor der Verschreibung zu beachten sind

PATIENTENAUSWAHL

- **Myalepta ist ausschließlich zur Behandlung von Komplikationen des Leptinmangels bei Patienten mit Lipodystrophie zugelassen.**
- **Daten zur Wirkung bei Patienten ab 65 Jahren sind begrenzt;** Dosiswahl und -anpassung sollten vorsichtig erfolgen, konkrete Empfehlungen liegen nicht vor.
- **Anwendung während der Schwangerschaft und bei Frauen im gebärfähigen Alter ohne sichere Verhütung wird nicht empfohlen.** Berichte über Aborte, Totgeburten und Frühgeburten liegen vor; ein ursächlicher Zusammenhang mit Myalepta ist jedoch nicht nachgewiesen. Tierversuche zeigen Hinweise auf Reproduktionstoxizität.
- **Bei eingeschränkter Nieren- oder Leberfunktion liegen keine Daten vor;** Dosisempfehlungen können nicht gegeben werden.
- **Sicherheit und Wirksamkeit bei HIV-assoziiertter Lipodystrophie sind nicht belegt.**

Kontraindikationen

Myalepta darf nicht angewendet werden bei bekannter Überempfindlichkeit gegen Metreleptin oder einen der sonstigen Bestandteile.⁶

Informationen zur Risikominderung für Patienten

Lipodystrophie verursacht erhebliche metabolische und neuroendokrine Störungen, die zu Hyperlipidämie, schwer behandelbarem Diabetes, eingeschränkter Immunantwort und hormonellen Dysfunktionen führen – allesamt bedingt durch eine verringerte Leptinsekretion.^{1,4,7,8}

Zu den potenziellen Risiken im Zusammenhang mit der Anwendung von Myalepta (bzw. bei Absetzen der Therapie im Falle einer akuten Pankreatitis, siehe unten) gehören insbesondere:

- Überempfindlichkeitsreaktionen
- Akute Pankreatitis im Zusammenhang mit dem Absetzen von Myalepta
- T-Zell-Lymphom

- Hypoglykämie bei gleichzeitiger Anwendung von Insulin oder anderen Antidiabetika
- Ungeplante Schwangerschaft durch Verbesserung hormoneller Dysfunktionen unter Myalepta
- Wirksamkeitsverlust, möglicherweise verursacht durch neutralisierende Antikörper
- Schwere Infektionen infolge neutralisierender Antikörper
- Progression autoimmuner Erkrankungen

Dieses Informationsmaterial enthält weitere Hinweise zu diesen Risiken, einschließlich Maßnahmen, wo möglich, zur Minimierung und zur Unterstützung von Patientengesprächen.

Spezifische Risikobereiche

ÜBEREMPFINDLICHKEITSREAKTIONEN

Myalepta kann wie jedes therapeutische Protein Überempfindlichkeitsreaktionen auslösen. Nach der Markteinführung wurden Fälle generalisierter Überempfindlichkeitsreaktionen berichtet, darunter anaphylaktische Reaktionen, Urtikaria und Hautausschlag.^{6,9} Insgesamt wurden die meisten Reaktionen jedoch als leicht bis mäßig schwer eingestuft.

Anaphylaktische Reaktionen können unmittelbar nach der Verabreichung auftreten. Tritt eine Anaphylaxie oder eine andere schwere allergische Reaktion auf, sollte die Anwendung von Myalepta sofort und dauerhaft abgebrochen werden, und es ist eine geeignete Therapie einzuleiten.⁶

Wie in der Fachinformation beschrieben, sollten Patienten und/oder Betreuungspersonen die erste Dosis des Arzneimittels unter Aufsicht eines qualifizierten medizinischen Fachpersonals vorbereiten und verabreichen.

In der Patienteninformation werden Patienten angewiesen, unverzüglich ihren Arzt zu kontaktieren, wenn Anzeichen einer schweren allergischen Reaktion auftreten,⁶ darunter:

- Atembeschwerden
- Schwellungen oder Rötungen der Haut, Nesselsucht
- Schwellungen von Gesicht, Lippen, Zunge oder Rachen
- Bauchschmerzen, Übelkeit und Erbrechen
- Ohnmacht oder Schwindelgefühl
- Sehr schneller Herzschlag (Tachykardie)

AKUTE PANKREATITIS IM ZUSAMMENHANG MIT DEM ABSETZEN VON MYALEPTA

Eine Therapieabweichung oder ein abruptes Absetzen von Myalepta kann zu einer Verschlechterung der Hypertriglyzeridämie und einer damit verbundenen Pankreatitis führen, insbesondere bei Patienten mit Risikofaktoren für Pankreatitis (z. B. Vorgeschichte einer Pankreatitis oder schwere Hypertriglyzeridämie).⁶

Wenn ein Patient während der Behandlung mit Myalepta eine Pankreatitis entwickelt, wird empfohlen, Myalepta ohne Unterbrechung weiterzuführen, da ein abruptes Absetzen die Erkrankung verschlimmern kann.⁶

Muss Myalepta aus irgendeinem Grund abgesetzt werden, wird eine schrittweise Reduktion der Dosis über zwei Wochen in Kombination mit einer fettarmen Ernährung empfohlen.⁶ Während dieser Reduktion sollten die Triglyzeridwerte überwacht und bei Bedarf die Dosis von lipid-senkenden Medikamenten initiiert oder angepasst werden. Zeichen oder Symptome, die auf eine Pankreatitis hinweisen, sollten zu einer angemessenen klinischen Untersuchung führen.⁶

Patienten mit Lipodystrophie haben bereits aufgrund der mit der Erkrankung assoziierten Hypertriglyzeridämie ein erhöhtes Risiko für Pankreatitis.⁵

Risikominimierung einer akuten Pankreatitis

Myalepta reduziert die Hypertriglyzeridämie, die bei Patienten mit Lipodystrophie auftritt.⁶ Studien zeigen, dass Patienten besonders gefährdet sind, wenn die Behandlung mit Myalepta abgebrochen wird, da dies zu einem plötzlichen Anstieg der Triglyzeridwerte führen kann. Daher wird empfohlen, Patienten zur täglichen Therapie und Compliance der Verabreichung von Myalepta zu motivieren und, falls Myalepta abgesetzt werden muss, die Dosis über einen Zeitraum von zwei Wochen schrittweise zu reduzieren. Dies sollte in Kombination mit einer fettarmen Ernährung und ggf. einer Anpassung anderer lipid-senkender Medikamente erfolgen.⁶

In der Patienteninformation werden Patienten angewiesen, unverzüglich einen Arzt aufzusuchen, wenn Anzeichen einer Pankreatitis auftreten,⁶ darunter:

- Plötzlich auftretende, starke Bauchschmerzen
- Übelkeit oder Erbrechen
- Durchfall

HYPOGLYKÄMIE BEI GLEICHZEITIGER ANWENDUNG VON INSULIN UND ANDEREN ANTIDIABETIKA

Bei Patienten, die mit Myalepta behandelt werden und gleichzeitig antidiabetische Arzneimittel erhalten – insbesondere Insulin oder insulinsekretagog wirkende Substanzen (z. B. Sulfonylharnstoffe) – besteht ein Risiko für Hypoglykämien.⁶

In den ersten zwei Behandlungswochen kann eine deutliche Reduktion des Insulinbedarfs um 50 % oder mehr im Vergleich zum Ausgangswert erforderlich sein. Sobald sich der Insulinbedarf stabilisiert hat, kann bei einigen Patienten auch eine Anpassung der Dosierung anderer antidiabetischer Therapien notwendig sein, um das Risiko von Hypoglykämien zu minimieren.⁶

Der Blutzuckerspiegel sollte bei Patienten unter gleichzeitiger Insulintherapie engmaschig überwacht werden. Patienten und Betreuungspersonen sollten über die Anzeichen und Symptome einer Hypoglykämie informiert und entsprechend sensibilisiert werden.⁶

Bei Patienten, die Insulin (oder andere subkutan verabreichte Arzneimittel) gemeinsam mit Myalepta anwenden, wird empfohlen, die Injektionsstellen regelmäßig zu wechseln.⁶

Zusätzliche Informationen

Schwere Hyperglykämie und ein schwer einstellbarer Diabetes infolge ausgeprägter Insulinresistenz zählen zu den gravierenden Folgen der Lipodystrophie und führen häufig zur Verordnung hoher Insulindosen sowie weiterer antidiabetischer Arzneimittel.¹

Mit Beginn der Behandlung mit Myalepta verbessert sich die Insulinresistenz, sodass in vielen Fällen deutliche Reduktionen der bisherigen Insulindosis erforderlich sind. Wird Myalepta bei unveränderter Insulindosierung angewendet, kann es aufgrund der erhöhten Insulinrezeptorsensitivität und der gesteigerten metabolischen Insulinwirkung zu leichten, mäßigen oder schweren Hypoglykämien kommen.^{2,6}

Nach Markteinführung wurden ebenfalls Fälle von Hypoglykämie berichtet. Aufgrund bestehender Störfaktoren konnte jedoch kein eindeutiger kausaler Zusammenhang mit Myalepta hergestellt werden.⁹

Während der Myalepta-Studien konnten 41 % der Patienten mit generalisierter Lipodystrophie die Insulintherapie vollständig beenden, und nahezu ein Viertel der Patienten konnte zusätzlich andere antidiabetische und/oder lipid-senkende Arzneimittel absetzen.⁶

Risikominimierung einer Hypoglykämie

Die Dosis von Insulin und anderen antidiabetischen Arzneimitteln sollte beim Beginn der Myalepta-Therapie gemäß den Empfehlungen der Fachinformation angepasst werden. Patienten sollten über das Risiko einer Hypoglykämie, die typischen Anzeichen und die Notwendigkeit einer engmaschigen Blutzuckerüberwachung aufgeklärt werden.

In der Patienteninformation werden Patienten angewiesen, sofort einen Arzt zu kontaktieren, wenn sie eines der folgenden Anzeichen einer Unterzuckerung bemerken:⁶

- Schwindel
- Verstärkte Müdigkeit oder Verwirrtheit
- Ungeschicklichkeit, Herunterfallen von Gegenständen
- Vermehrtes Hungergefühl
- Übermäßiges Schwitzen
- Reizbarkeit oder gesteigerte Nervosität

T-ZELL-LYMPHOM

Bei Patienten mit erworbener generalisierter Lipodystrophie, die nicht mit Myalepta behandelt wurden, wurden lymphoproliferative Erkrankungen, einschließlich Lymphomen, berichtet. In klinischen Studien wurden Fälle von T-Zell-Lymphomen unter Myalepta-Behandlung dokumentiert. Ein kausaler Zusammenhang zwischen der Myalepta-Therapie und der Entstehung oder Progression von Lymphomen wurde bisher nicht nachgewiesen.⁶

Vor Beginn der Behandlung sollten Nutzen und Risiken von Myalepta besonders sorgfältig bei Patienten mit erworbener generalisierter Lipodystrophie und/oder bei Patienten mit ausgeprägten hämatologischen Auffälligkeiten (einschließlich Leukopenie, Neutropenie, Knochenmarkanomalien, Lymphom und/oder Lymphadenopathie) abgewogen werden.⁶

Zusätzliche Informationen

Erworbene Lipodystrophien sind mit Autoimmunerkrankungen assoziiert, und Autoimmunerkrankungen gehen mit einem erhöhten Risiko für Malignome, einschließlich Lymphomen, einher.¹¹

In klinischen Studien wurden drei Fälle von T-Zell-Lymphomen unter Metreleptin-Behandlung berichtet.⁶ Alle drei Patienten litten an erworbener generalisierter Lipodystrophie. Bei zwei Patienten wurde während der Therapie ein peripheres T-Zell-Lymphom diagnostiziert; beide wiesen bereits eine Immundefizienz sowie ausgeprägte hämatologische Auffälligkeiten, einschließlich schwerer Knochenmarksanomalien, vor Beginn der Behandlung auf.⁶

Ein separater Fall eines anaplastischen großzelligen Lymphoms wurde bei einem pädiatrischen Patienten dokumentiert, der das Arzneimittel erhielt und vor der Behandlung keine hämatologischen Auffälligkeiten hatte.⁶

UNGEPLANTE SCHWANGERSCHAFT

Patientinnen mit Lipodystrophie können aufgrund eines Leptinmangels eine verminderte Fertilität aufweisen.⁹ Leptin spielt eine wichtige Rolle für die Fortpflanzungsfähigkeit, und unter Myalepta-Behandlung kann bei zuvor infertilen Frauen mit Leptinmangel die Fertilität wiederhergestellt werden.¹

Myalepta wird während der Schwangerschaft sowie bei Frauen im gebärfähigen Alter, die keine zuverlässige

Verhütung anwenden, nicht empfohlen. Bei Frauen, die während der Schwangerschaft Metreleptin ausgesetzt waren, wurden Aborte, Totgeburten und Frühgeburten berichtet; ein ursächlicher Zusammenhang mit der Behandlung konnte bislang jedoch nicht nachgewiesen werden. Tierversuche zeigten Hinweise auf eine Reproduktionstoxizität, jedoch keine nachteiligen Auswirkungen auf die Fertilität von männlichen oder weiblichen Tieren.⁶

Da nicht ausgeschlossen werden kann, dass Myalepta die Exposition gegenüber CYP3A-Substraten durch Enzyminduktion verringert, könnte die Wirksamkeit hormoneller Kontrazeptiva bei gleichzeitiger Anwendung reduziert sein. Deshalb sollte während der Behandlung zusätzlich eine nicht-hormonelle Verhütungsmethode in Betracht gezogen werden.⁶

WIRKSAMKEITSVERLUST, MÖGLICHERWEISE AUFGRUND NEUTRALISIERENDER ANTIKÖRPER

In klinischen Studien wurden bei Patienten sehr häufig Antidrug-Antikörper (ADA) gegen Metreleptin nachgewiesen (88 %). In vitro konnte im Blut der Mehrzahl der Patienten eine blockierende Wirkung der Reaktion zwischen Metreleptin und einem rekombinanten Leptinrezeptor nachgewiesen werden, jedoch konnte der Einfluss auf die Wirksamkeit von Metreleptin nicht eindeutig bestimmt werden.⁶

Zwar wurde dies in klinischen Studien nicht bestätigt, jedoch könnten neutralisierende Antikörper theoretisch die Aktivität des endogenen Leptins beeinflussen.⁶

Zusätzliche Informationen

In klinischen Studien (Studien NIH 991265/20010769 und FHA101) lag die Rate von Antikörpern gegen das Arzneimittel (ADA) bei Patienten mit generalisierter Lipodystrophie sowie bei den untersuchten Patienten mit partieller Lipodystrophie, für die Daten vorlagen, bei 88 % (65 von 74 Patienten).

Ein Wirksamkeitsverlust, möglicherweise bedingt durch neutralisierende Antikörper, kann bei Patienten unter Metreleptin-Therapie auftreten. Allerdings kann er auch mit unzureichender Therapieadhärenz zusammenhängen, was ebenfalls berücksichtigt werden sollte. Obwohl der Einfluss neutralisierender Antikörper auf die Wirksamkeit bislang nicht bestätigt wurde, sollten Patienten, bei denen trotz Myalepta-Gabe ein signifikanter

Wirksamkeitsverlust festgestellt wird, auf das Vorhandensein neutralisierender Antikörper getestet werden.

Für weitere Informationen über die Einsendung von Proben für Tests auf neutralisierende Antikörper wenden Sie sich bitte an rarediseases.at@chiesi.com.

Da die Analyse einzelner Patientenproben bis zu vier Monate dauern kann und die klinischen Konsequenzen der Bildung von neutralisierenden Antikörpern gegen Metreleptin in vitro noch nicht vollständig verstanden sind, sollte jede Entscheidung über das Fortführen oder Absetzen der Metreleptin-Therapie immer unter Berücksichtigung des klinischen Zustands des Patienten und der Gesamtsituation getroffen werden.

SCHWERWIEGENDE UND SCHWERE INFEKTIONEN AUFGRUND NEUTRALISIERENDER ANTIKÖRPER

Ein Zusammenhang zwischen blockierenden Antikörpern, Wirksamkeitsverlust und schweren Infektionen kann nicht ausgeschlossen werden. Bei Auftreten einer schweren Infektion liegt die Entscheidung über das Fortführen der Therapie im Ermessen des behandelnden Arztes⁶.

Zusätzliche Informationen

Schwerwiegende und/oder schwere Infektionen, die zeitlich mit einer blockierenden Aktivität gegen Metreleptin zusammenhingen, traten bei fünf Patienten mit generalisierter Lipodystrophie auf, darunter Appendizitis (schwer), Pneumonie (schwer), Sepsis (schwer) sowie Gingivitis (schwer) und Otitis (schwer). Eine weitere Episode schwerer Appendizitis wurde bei einem Patienten mit partieller Lipodystrophie berichtet.

Obwohl ein zeitlicher Zusammenhang besteht, lässt sich kein eindeutiger kausaler Zusammenhang mit der Metreleptin-Therapie bestätigen. Patienten mit blockierender Aktivität und gleichzeitigen Infektionen sprachen auf Standardtherapie an.⁶

AUTOIMMUNERKRANKUNGEN

Bei einigen Patienten unter Myalepta-Behandlung wurden Progressionen oder Schübe von Autoimmunerkrankungen, einschließlich schwerer Autoimmunhepatitis, beobachtet. Ein kausaler Zusammenhang zwischen der Myalepta-Therapie und der Verschlechterung der Autoimmunerkrankung konnte jedoch nicht nachgewiesen werden.

Es wird empfohlen, Patienten auf Schübe ihrer zugrunde liegenden Autoimmunerkrankung (plötzliches, schweres Auftreten von Symptomen) engmaschig zu überwachen. Die potenziellen Vorteile und Risiken einer Myalepta-Behandlung sollten bei Patienten mit Autoimmunerkrankungen sorgfältig abgewogen werden.⁶

MEDIKATIONSFEHLER

Um sicherzustellen, dass Patienten und Betreuungspersonen die korrekte Injektionsdosis verstehen, sollte der verschreibende Arzt die geeignete Dosis sowohl in Milligramm als auch im Volumen in Millilitern angeben.⁶ Zur Vermeidung von Medikationsfehlern, einschließlich Überdosierung, sollten die Richtlinien zur Dosisberechnung und -anpassung befolgt werden. Es wird empfohlen, die Selbstinjektionstechnik des Patienten alle sechs Monate zu überprüfen, solange Myalepta verwendet wird.⁶

Medizinische Fachkräfte sollten Patienten und Betreuungspersonen in der Zubereitung des Produkts sowie der korrekten subkutanen Injektionstechnik schulen, um eine versehentliche intramuskuläre Injektion insbesondere bei Patienten mit geringem subkutanen Fettgewebe zu vermeiden. Die erste Dosis des Arzneimittels sollte unter Aufsicht eines qualifizierten medizinischen Fachpersonals von Patienten und/oder Betreuungspersonen vorbereitet und verabreicht werden.⁶

Der folgende Abschnitt des Informationsmaterials behandelt die Verschreibung der korrekten Dosis, die Verordnung und Bereitstellung weiterer Komponenten zur Zubereitung und Verabreichung von Myalepta sowie die Schulung des Patienten oder der Betreuungsperson.

Verschreibung von Myalepta und der erforderlichen Hilfsmittel

AUSWAHL UND VERORDNUNG DER INITIALDOSIS

Die empfohlene Tagesdosis von Myalepta richtet sich nach dem Körpergewicht und dem Geschlecht der Patienten und ist in Tabelle 1 angegeben. Um sicherzustellen, dass Patienten und betreuende Personen die korrekte zu injizierende Dosis verstehen, sollte der verordnende Arzt die entsprechende Dosis sowohl in Milligramm als auch als Volumen in Millilitern verschreiben.⁶ Zur Vermeidung von Medikationsfehlern, einschließlich Überdosierungen, sind

die nachfolgend dargestellten Richtlinien zur Dosisberechnung und Dosisanpassung zu beachten.⁶ Bei der Berechnung der Myalepta-Dosis ist zu Beginn der Behandlung stets das tatsächliche Körpergewicht zugrunde zu legen.⁶ Nach der Rekonstitution muss die Lösung unverzüglich verabreicht werden und darf nicht zur späteren Verwendung aufbewahrt werden. Daher ist pro Tag eine Durchstechflasche Myalepta sowie eine Durchstechflasche/Ampulle Wasser für Injektionszwecke zu verordnen. Der Patient ist anzuweisen, nicht verwendetes Arzneimittel sowie nicht verwendetes Wasser für Injektionszwecke zu entsorgen.

Tabelle 1: Empfohlene Dosis von Myalepta⁶

Körpergewicht bei Behandlungsbeginn	Tagesdosis bei Behandlungsbeginn (Injektionsvolumen)	Dosisanpassung (Injektionsvolumen)	Tageshöchstdosis (Injektionsvolumen)
Patient:innen ≤ 40 kg	0.06 mg/kg (0.012 ml/kg)	0.02 mg/kg (0.004 ml/kg)	0.13 mg/kg (0.026 ml/kg)
Männer > 40 kg	2.5 mg (0.5 ml)	1.25 mg (0.25 ml) bis 2.5 mg (0.5 ml)	10 mg (2 ml)
Frauen > 40 kg	5 mg (1 ml)	1.25 mg (0.25 ml) bis 2.5 mg (0.5 ml)	10 mg (2 ml)

Zur Vereinfachung der Verordnung und zur Verringerung des Risikos von Medikationsfehlern stellt Chiesi Rekonstitutions- und Applikationssets wie in Tabelle 2 angegeben bereit.

Hinweis: Das Wasser für Injektionen, Alkoholtupfer und das Entsorgungsbehältnis für spitze Gegenstände müssen separat verschrieben bzw. bereitgestellt werden und sind nicht in den Chiesi-Sets enthalten.

Tabelle 2: Injektionssets zur Administration

Dosierung	Myalepta Vial Größe	Rekonstitutions-set (RS)	Detail RS	Injektions-set (IS)	Detail IS	Aqua ad Inj. 10 ml	Alkohol-tupfer	Abfall-behälter	Kommentar
≤ 1.5 mg	3 mg	2	30 Stk. 1.0 ml-Spritzen	1	30 Stk. 0.3 ml-Spritzen mit integ. 31G 8 mm Inj.-Nadeln	30 Stk.	60 Stk.	1 Stk.	Diese Dosierung ist nur bei Kindern oder SEHR leichten Personen realistisch
			30 Stk. 21G Nadeln (40mm)						
1.6 mg – 2,5 mg	3 mg	2	30 Stk. 1.0 ml-Spritzen	2	30 Stk. 1.0 ml-Spritzen	30 Stk.	60 Stk.	1 Stk.	
			30 Stk. 21G Nadeln (40mm)		30 Stk. 30G 13mm Inj.-Nadeln				
2.6 mg – 5 mg	5.8 mg	1	30 Stk. 3.0 ml-Spritzen	2	30 Stk. 1.0 ml-Spritzen	30 Stk.	60 Stk.	1 Stk.	
			30 Stk. 21G Nadeln (40mm)		30 Stk. 30G 13mm Inj.-Nadeln				
5.1 mg – 10 mg	11.3 mg	1	30 Stk. 3.0 ml-Spritzen	3	30 Stk. 3.0 ml-Spritzen	30 Stk.	60 Stk.	1 Stk.	
			30 Stk. 21G Nadeln (40mm)		30 Stk. 30G 13mm Inj.-Nadeln				

SCHULUNG DES PATIENTEN

Die erste Injektion von Myalepta sollte stets unter Aufsicht eines medizinischen Fachpersonals erfolgen. Es ist wichtig, dass der Patient oder die betreuende Person vor der Selbstinjektion zu Hause angemessen geschult wird.⁶ Eine Überprüfung der Injektionstechnik sollte alle sechs Monate erfolgen.⁶

Die in der Gebrauchsanweisung enthaltenen Anweisungen sind klar dargestellt und durch Abbildungen bei jedem wichtigen Schritt ergänzt, um den Patienten an die korrekte Anwendung zu erinnern. Darüber hinaus beinhaltet der Risikominimierungsplan (RMP) ein „Informationsmaterial für Patienten“, eine „Dosierungskarte für Patienten“ sowie ein „Patientenvideo“, die die korrekte Rekonstitution, Injektionstechnik und Zubereitung der verschriebenen Dosis demonstrieren.

Zur Verringerung des Risikos von Dosierungsfehlern sollte den Patienten die Tagesdosis sowohl in Milligramm als auch in Millilitern angegeben werden. Wenn die Dosis ≤ 1,5 mg (0,3 ml) beträgt und eine 0,3-ml-U100-Insulinspritze verwendet wird, sollten zusätzlich die entsprechenden Einheiten angegeben werden. Eine Umrechnung der Dosis in Einheiten ist in Tabelle 3 gelistet:

Weitere Informationen finden Sie auf der Myalepta-RMP-Website unter: www.myaleptainfo.eu



Tabelle 3: Umrechnung der Dosis in Einheiten bei Patienten bis 25 kg für Applikation in einer 0,3-ml-U100- Insulinspritze

Gewicht des Kindes	Dosis von Myalepta	Tatsächliches Volumen der Lösung*	Gerundetes Volumen der Lösung	Zu injizierendes Volumen in Einheiten bei Verwendung der 0,3-ml-Spritze
9 kg	0.54 mg	0.108 ml	0.10 ml	10
10 kg	0.60 mg	0.120 ml	0.12 ml	12
11 kg	0.66 mg	0.132 ml	0.13 ml	13
12 kg	0.72 mg	0.144 ml	0.14 ml	14
13 kg	0.78 mg	0.156 ml	0.15 ml	15
14 kg	0.84 mg	0.168 ml	0.16 ml	16
15 kg	0.90 mg	0.180 ml	0.18 ml	18
16 kg	0.96 mg	0.192 ml	0.19 ml	19
17 kg	1.02 mg	0.204 ml	0.20 ml	20
18 kg	1.08 mg	0.216 ml	0.21 ml	21
19 kg	1.14 mg	0.228 ml	0.22 ml	22
20 kg	1.20 mg	0.240 ml	0.24 ml	24
21 kg	1.26 mg	0.252 ml	0.25 ml	25
22 kg	1.32 mg	0.264 ml	0.26 ml	26
23 kg	1.38 mg	0.276 ml	0.27 ml	27
24 kg	1.44 mg	0.288 ml	0.28 ml	28
25 kg	1.50 mg	0.300 ml	0.30 ml	30

*Hinweis: Die Anfangsdosis und die Dosierungsschritte sollten auf 0,01 ml abgerundet werden.

Schulungs- und Fortbildungsmaßnahmen

Ein Programm von Schulungs- und Fortbildungsmaßnahmen wurde initiiert und umfasst eine Informationsbroschüre für medizinisches Fachpersonal sowie eine Informationsbroschüre für Patienten. Zusätzlich stehen Informationen zur korrekten Injektionstechnik in Form eines Videos zur Verfügung. Diese Materialien richten sich an verordnende Ärzte, Apotheker, Patienten und betreuende Personen mit dem Ziel,

- medizinisches Fachpersonal und Patienten über wichtige Informationen zur Verschreibung aufzuklären,
- die Risiken und Nutzen von Myalepta zu erläutern und Möglichkeiten zur Risikominderung aufzuzeigen,
- sicherzustellen, dass der Patient die geeigneten Zusatzartikel zur Rekonstitution und Verabreichung von Myalepta erhält,
- auf die Notwendigkeit angemessener Schulung und Follow-ups mit dem Patienten oder der betreuenden Person hinzuweisen,
- Anleitungen zu korrekten Injektionstechniken zu geben, um eine sichere Anwendung von Myalepta zu gewährleisten.

AUFNAHME VON PATIENTEN IN DAS MYALEPTA-PATIENTENREGISTER

Chiesi hat sich als Bedingung für die Marktzulassung von Myalepta in der EU verpflichtet ein Register einzurichten, das Patienten mit generalisierter oder partieller Lipodystrophie umfasst, die mit Myalepta behandelt werden. Dieses Register soll dazu dienen, die Sicherheit und Wirksamkeit von Metreleptin unter realen Praxisbedingungen weiter zu untersuchen.

Weitere Exemplare dieser Materialien sind bei Chiesi erhältlich oder können von der Website des Myalepta-Risikomanagementprogramms heruntergeladen werden unter www.myaleptainfo.eu



Die Teilnahme am Register sollte allen geeigneten Patienten angeboten werden. Den Patienten soll zugesichert und garantiert werden, dass alle erhobenen Daten anonymisiert werden.

Bitte kontaktieren Sie rarediseases.at@chiesi.com für weitere Informationen über das Register und Ihre Teilnahme.

Checkliste für die Beratung von Patienten

Die in Tabelle 4 aufgeführten Informationen sollten mit dem Patienten besprochen werden, und eine entsprechende Dokumentation sollte in den Patientenunterlagen erfolgen.

Tabelle 4: Wichtige Informationen für den Patienten

Themen zur Besprechung
Myalepta sollte täglich zur gleichen Zeit unabhängig von den Mahlzeiten verabreicht werden.
Im Falle einer Überempfindlichkeitsreaktion sollte der Patient angewiesen werden, seinen Arzt zu kontaktieren,
Falls eine Dosis vergessen wurde, sollte der Patient Myalepta umgehend nach Vermerken des Versäumnisses einnehmen.
Patienten, die Myalepta einnehmen, sollten sich an die von ihrem Arzt empfohlene Ernährungsweise halten.
Frauen sollten ihren Arzt sofort benachrichtigen, wenn der Verdacht auf eine Schwangerschaft besteht.
Frauen im gebärfähigen Alter sollten vor Therapiebeginn mit Myalepta eine effektive Verhütungsmethode anwenden.
Ein plötzlicher Abbruch der Myalepta-Therapie sollte nur nach Rücksprache mit dem behandelnden Arzt erfolgen.
Bei Patienten mit Diabetes ist eine enge Kontrolle der Blutzuckerwerte erforderlich.
Eine Selbstverabreichung von Myalepta durch den Patienten ist erst nach entsprechender Schulung und sicherem Umgang mit der Zubereitung und Anwendung zulässig.

Abgabe von Myalepta und zugehörigen Hilfsmitteln

INFORMATIONEN FÜR APOTHEKER

Beim Abgeben von Myalepta-Ampullen muss der Patient auch die erforderlichen Hilfsmittel erhalten, damit er Myalepta korrekt zubereiten und verabreichen sowie Spritzen und Nadeln sicher entsorgen kann. Die benötigten Hilfsmittel werden in Tabelle 2 ausführlich beschrieben sind wie folgt aufgeführt:

- Geeignete Spritzen und Nadeln zur Auflösung und Verabreichung von Myalepta
- Alkoholtupfer
- Wasser für Injektionszwecke
- Ein Behälter für scharfe Gegenstände (Spritzen- und Nadelentsorgungsbehälter)

Ab 1. Jänner 2026 erfolgt die Bestellung über folgende Apotheke:

Alte Feldapotheke
Stephansplatz 8A
1010 Wien, Österreich
E-Mail: gh@altefeldapotheke.at

Zusammenfassung

Lipodystrophie ist eine seltene Erkrankung, die durch den Verlust von Fettgewebe und Leptinmangel gekennzeichnet ist.¹ Der Leptinmangel führt zu einer Reihe schwerwiegender metabolischer Störungen.⁴

Die Leptinersatztherapie mit Myalepta korrigiert die niedrigen Leptinspiegel bei Patienten und hilft, die Folgen des unbehandelten Leptinmangels rückgängig zu machen.

Die meisten Nebenwirkungen lassen sich in der Regel gut kontrollieren, und die potenziellen Vorteile einer Myalepta-Therapie überwiegen. Dennoch ist es wichtig, dass Patienten während der Behandlung sorgfältig überwacht werden und in der korrekten Injektionstechnik geschult werden, um Risiken durch unzureichende Therapietreue oder Medikationsfehler zu minimieren.

Die aktuelle Fachinformation ist stets zusammen mit diesem Informationsmaterial zu berücksichtigen.

Referenzen

1. Brown RJ, Araujo-Vilar D, Cheung PT, et al. The diagnosis and management of lipodystrophy syndromes: a multi-society practice guideline. *J Clin Endocrinol Metab* 2016;101:4500-11.
2. Rodriguez AJ, Mastronardi CA, Paz-Filho GJ. New advances in the treatment of generalized lipodystrophy: role of metreleptin. *Ther Clin Risk Manag* 2015;11:1391-400.
3. Gupta N, Asi N, Farah W, et al. Clinical features and management of non-HIV related lipodystrophy in children: a systematic review. *J Clin Endocrinol Metab* 2017;102:363-74.
4. Mantzoros CS, Magkos F, Brinkoetter M, et al. Leptin in human physiology and pathophysiology. *Am J Physiol Endocrinol Metab* 2011;301:E567-84.
5. Chan JL, Oral EA. Clinical classification and treatment of congenital and acquired lipodystrophy. *Endocr Pract* 2010;16:310-23.
6. Chiesi Summary of Product Characteristics (SmPC, Fachinformation)
7. Faggioni R, Feingold KR, Grunfeld C. Leptin regulation of the immune response and the immunodeficiency of malnutrition. *Faseb J* 2001;15:2565-71.
8. Fernández-Riejos P, González-Yanes C, Najib S, et al. Role of leptin in the immune system. *Current Immunology Reviews* 2008;4:230-34.
9. Chiesi Farmaceutica S.p.A. Data on file.
10. Brown R J, et al. Comorbidities in patients with lipodystrophy. *Diabetes* 2014; 63(Suppl. 1): A389.
11. Brown et al. Leuk Lymphoma. 2016;57(1):45-50. doi: 10.3109/10428194.2015.1040015. Epub 2015 May



Chiesi Pharmaceuticals GmbH
E-Mail: rarediseases.at@chiesi.com
Telefonnummer: +43 1 407 39 19 – 0

Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden: Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen, Traisengasse 5, 1200 Wien, Österreich

Website: <http://www.basg.gv.at> Fax: 050 555-36207 E-Mail: nebenwirkung@basg.gv.at
Formular: [Online-Meldung von Nebenwirkungen human – Angaben zur meldenden Person – BASG](#)