



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/307451/2012
EMA/H/C/000435

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Zavesca

miglustat

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Zavesca. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Zavesca do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

Co to jest Zavesca?

Zavesca jest lekiem zawierającym substancję czynną miglustat. Lek jest dostępny w postaci kapsułek (100 mg).

W jakim celu stosuje się lek Zavesca?

Lek Zavesca stosuje się w leczeniu dwóch chorób dziedzicznych, które wpływają na gospodarkę tłuszczową organizmu. Obie choroby powodują odkładanie się w organizmie substancji tłuszczowych zwanych glikosfingolipidami. Lek stosuje się w leczeniu następujących pacjentów:

- osoby dorosłe (od 18 roku życia) z chorobą Gauchera typu 1 o łagodnym lub średnim nasileniu; u pacjentów cierpiących na tę chorobę występuje niedobór enzymu zwanego glukocerebrozydazą, w wyniku czego dochodzi do odkładania się glikosfingolipidu zwanego glukozylceramidem w różnych częściach organizmu, takich jak śledziona, wątroba i kości. Lek Zavesca stosuje się u pacjentów, u których nie można stosować standardowego leczenia – enzymatycznego leczenia substytucyjnego (ang. ERT);
- pacjenci (niezależnie od wieku) z chorobą Niemann-Picka typu C, potencjalnie śmiertelnym schorzeniem, w którym glikosfingolipidy odkładają się w komórkach mózgu i w całym organizmie. Lek Zavesca stosuje się w leczeniu neurologicznych objawów choroby (objawy w obrębie mózgu i nerwów), w tym: utraty koordynacji, problemów z „sakadycznymi” (szybkimi) ruchami gałki ocznej, co może prowadzić do zaburzeń widzenia, opóźnionego rozwoju, trudności z przełykaniem, obniżonego napięcia mięśniowego, drgawek i trudności z nauką.



Z powodu niskiej liczby pacjentów cierpiących na te choroby, uważane są one za rzadkie i dlatego też w dniu 18 października 2000 r. lek Zavesca został oznaczony jako lek sierocy (lek stosowany w leczeniu rzadkich chorób) w odniesieniu do choroby Gauchera typu 1, natomiast w dniu 16 lutego 2006 r. – w odniesieniu do choroby Niemann-Picka typu C.

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak stosować lek Zavesca?

Leczenie produktem Zavesca powinni rozpoczynać i monitorować lekarze mający doświadczenie w leczeniu choroby Gauchera lub choroby Niemann-Picka typu C.

W chorobie Gauchera typu 1 zalecana dawka początkowa to jedna kapsułka trzy razy na dobę. W przypadku choroby Niemann-Picka typu C zalecana dawka dla pacjentów w wieku od 12 lat wynosi dwie kapsułki trzy razy na dobę; u młodszych pacjentów dawka zależy od ich masy ciała i wzrostu. Lek Zavesca jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.

U pacjentów z zaburzeniami czynności nerek należy stosować niższą dawkę leku. Dawkę leku należy również zmniejszyć tymczasowo u pacjentów z biegunką. Dodatkowe informacje znajdują się w charakterystyce produktu leczniczego (także części EPAR).

Jak działa lek Zavesca?

Substancja czynna leku Zavesca, miglustat, zapobiega działaniu enzymu zwanego syntazą glukozyloceramidu, który bierze udział w pierwszym etapie wytwarzania glikosfingolipidów. Zapobiegając działaniu enzymu, miglustat może zmniejszyć wytwarzanie glikosfingolipidów w komórkach. Ma to spowolnić rozwój objawów choroby Gauchera typu 1 lub im zapobiec, oraz łagodzić objawy choroby Niemann-Picka typu C.

Jak badano lek Zavesca?

W chorobie Gauchera typu 1 lek Zavesca oceniano w jednym badaniu głównym z udziałem 28 pacjentów z chorobą o łagodnym lub umiarkowanym nasileniu, którzy nie mogli lub nie chcieli otrzymywać ERT. Główna część badania trwała rok, lecz 13 pacjentów otrzymywało lek przez dwa dodatkowe lata. W badaniu oceniano, czy lek Zavesca miał wpływ na rozmiar wątroby i śledziony oraz na poprawę parametrów krwi, takich jak poziom hemoglobiny (białko znajdujące się w czerwonych krwinkach transportujących tlen w organizmie) oraz liczba płytek krwi (elementy przyczyniające się do krzepnięcia krwi).

W chorobie Niemann-Picka typu C lek Zavesca oceniano w jednym badaniu głównym z udziałem 31 pacjentów, spośród których 12 było w wieku poniżej 12 lat. W badaniu porównywano skutki dodania leku Zavesca do standardowego leczenia z samym standardowym leczeniem. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana prędkości, z jaką po roku u pacjentów występowały horyzontalne sakadyczne ruchy gałki ocznej, ale w badaniu analizowano także inne objawy neurologiczne, takie jak zdolność pacjenta do przełykania oraz sprawność intelektualną. Leczenie niektórych pacjentów trwało do 5,5 roku. Firma przedstawiła również wyniki badania z udziałem 66 pacjentów leczonych produktem Zavesca.

Jakie korzyści ze stosowania leku Zavesca zaobserwowano w badaniach?

W badaniu dotyczącym choroby Gauchera typu 1 po roku odnotowano umiarkowane zmniejszenie się rozmiaru wątroby (o 12%) i śledziony (o 19%). Odnotowano również nieznaczną poprawę parametrów

krwi: poziom hemoglobiny wzrósł średnio o 0,26 g na decylitr, a liczba płytek krwi – o 8,29 mln na mililitr. Korzyści ze stosowania leku Zavesca utrzymywały się przez trzy lata ciągłego leczenia.

W badaniu dotyczącym choroby Niemann-Picka typu C poprawa ruchów gałki ocznej u pacjentów przyjmujących lek Zavesca była podobna jak u pacjentów, którzy tego leku nie przyjmowali. U pacjentów leczonych produktem Zavesca wystąpiły jednak oznaki poprawy w zdolności do przetykania oraz pod względem sprawności intelektualnej. Badanie wykazało, że u blisko trzech czwartych pacjentów lek Zavesca prowadził do stabilizacji lub zmniejszenia się współczynnika pogarszania się objawów.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem leku Zavesca?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Zavesca (obserwowane u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to: utrata masy ciała, zmniejszony apetyt, drżenie (drgawki), biegunka, oddawanie wiatrów (gazów) oraz bóle brzucha (ból żołądka). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Zavesca znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Zavesca nie wolno stosować u osób, u których występuje nadwrażliwość (alergia) na miglustat lub którykolwiek składnik leku.

Na jakiej podstawie zatwierdzono lek Zavesca?

CHMP uznał, że korzyści ze stosowania leku Zavesca przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie leku do obrotu.

Lek Zavesca początkowo dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, gdyż ze względu na to, że choroby te występują rzadko, w chwili dopuszczenia do obrotu informacje na temat leku były ograniczone. Gdy firma dostarczyła dodatkowe wymagane informacje, „wyjątkowe okoliczności” zostały zniesione w dniu 23 sierpnia 2012 r.

Inne informacje dotyczące leku Zavesca:

W dniu 20 listopada 2002 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie leku Zavesca do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Zavesca znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Zavesca należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenia opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczących leku Zavesca znajdują się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

- [choroba Gauchera;](#)
- [choroba Niemann-Picka typu C.](#)

Data ostatniej aktualizacji: 08-2012.