



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/335910/2019  
EMA/H/C/004904

## Миглустат Dipharma (*miglustat*)

Общ преглед на Миглустат Dipharma и основания за разрешаване в ЕС

### Какво представлява Миглустат Dipharma и за какво се използва?

Миглустат Dipharma се използва за лечение на две наследствени заболявания, които засягат начина, по който организмът обработва мазнините. И двете заболявания водят до натрупване в организма на мастни вещества, наречени гликофинголипиди. Миглустат Dipharma се използва за лечение на следните пациенти:

- възрастни (на 18 години и повече) с тип 1 болест на Гоше в лека до умерена форма. При пациентите с тази болест липсва ензимът, наречен глюкоцереброзидаза, който води до изграждане на гликофинголипид, наречен глюкозилцерамид, в различни части на тялото, например в далака, черния дроб и костите. Миглустат Dipharma се използва при пациенти, при които не може да се приложи стандартното лечение на ензимно-заместителната терапия (ERT);
- пациенти от всички възрасти с болест на Niemann-Pick тип C — потенциално фатално заболяване, при което гликофинголипидите се натрупват в клетките в мозъка и на други места в организма. Миглустат Dipharma се използва за лечение на неврологичните симптоми на заболяването (симптоми, засягащи мозъка и нервите). Това включва загуба на координация, проблеми с бързите движения на очите, които могат да доведат до увреждане на зрението, забавяне на развитието, затруднения при гълтане, понижен мускулен тонус, припадъци и затруднения при учене.

Миглустат Dipharma е „генерично лекарство“. Това означава, че Миглустат Dipharma съдържа същото активно вещество и действа по същия начин като „референтното лекарство“, което вече е разрешено в ЕС и се нарича Zavesca. За повече информация относно генеричните лекарства вижте документа тип „въпроси и отговори“ [ТУК](#).

### Как се използва Миглустат Dipharma?

Миглустат Dipharma се предлага под формата на капсули от 100 mg, които се приемат през устата. При болест на Гоше тип 1 препоръчителната начална доза е една капсула три пъти

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



дневно. При болест на Niemann-Pick тип С дозата е две капсули три пъти дневно за пациенти на възраст 12 и повече години; при по-млади пациенти дозата зависи от теглото и височината им. Миглустат Dipharma е предназначен за продължителна употреба.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание, а лечението трябва да се провежда под наблюдението на лекари с опит в лечението на болестта на Гоше.

За повече информация относно употребата на Миглустат Dipharma вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

## **Как действа Миглустат Dipharma?**

Активното вещество в Миглустат Dipharma, миглустат (miglustat), блокира действието на ензима, наречен глюкозилцерамид синтаза. Този ензим участва в първия етап на производството на глюкозилцерамид. Като предотвратява действието на ензима, миглустат може да намали производството на глюкозилцерамид в клетките и по този начин да намали симптомите на болестта на Гоше тип 1.

## **Как е проучен Миглустат Dipharma?**

Проучвания за ползите и рисковете при одобрената употреба на активното вещество за лечение на болестта на Гоше вече са проведени с референтното лекарство Zavesca и не е необходимо да се повтарят с Миглустат Dipharma.

Както за всяко лекарство, фирмата е представила проучвания за качеството на Миглустат Dipharma. Фирмата е провела също проучване, което показва, че това лекарство е биоеквивалентно на референтното лекарство. Две лекарства са биоеквивалентни, когато имат едни и същи нива на активното вещество в организма и следователно се очаква да имат един и същ ефект.

## **Какви са ползите и рисковете, свързани с Миглустат Dipharma?**

Тъй като Миглустат Dipharma е генерично лекарство и биоеквивалентно на референтното лекарство, се приема, че ползите и рисковете са същите като при референтното лекарство.

## **Защо Миглустат Dipharma е разрешен за употреба в ЕС?**

Европейската агенция по лекарствата заключи, че в съответствие с изискванията на ЕС е доказано, че Миглустат Dipharma е със сравнимо качество и е биоеквивалентен на Zavesca. Затова Агенцията счита, че както при Zavesca, ползите от употребата на Миглустат Dipharma превишават установените рискове и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

## **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Миглустат Dipharma?**

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Миглустат Dipharma, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Миглустат Dipharma непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на

Миглустат Dipharma, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

### **Допълнителна информация за Миглустат Dipharma:**

Миглустат Dipharma получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 18 февруари 2019 г.

Допълнителна информация за Миглустат Dipharma можете да намерите на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma). Информация относно референтното лекарство също може да се намери на уебсайта на Агенцията.

Дата на последно актуализиране на текста 06-2019.