



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/335911/2019
EMA/H/C/004366

Миглустат Gen.Orph (*miglustat*)

Общ преглед на Миглустат Gen.Orph и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Миглустат Gen.Orph и за какво се използва?

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

- възрастни (на 18 години и повече) с лека до умерена форма на болестта на Гоше тип 1. При пациентите с тази болест липсва ензим, наречен глюкоцереброзидаза, в резултат на което в различни части на организма, напр. далак, черен дроб и кости, се натрупва определен гликофинголипид, наречен глюкозилцерамид. Миглустат Gen.Orph се използва при пациенти, при които стандартната ензим-заместваща терапия (ЕЗТ) не е подходяща;
- пациенти от всички възрастови групи с болестта на Ниман-Пик тип С — заболяване с потенциално фатален край, при което гликофинголипидите се натрупват в клетките на мозъка и в други части на организма. Миглустат Gen.Orph се използва за лечение на неврологични симптоми на заболяването (симптоми, засягащи мозъка и нервите). Това включва загуба на координация, проблеми поради „сакадически“ (скокообразни) движения на очите, които могат да доведат до увреждане на зрението, забавяне в развитието, трудности при гълтане, понижен мускулен тонус, пристъпи и затруднения при учене.

Миглустат Gen.Orph е „генерично лекарство“. Това означава, че Миглустат Gen.Orph съдържа същото активно вещество и действа по същия начин като „референтно 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 Gen.Orph?

Миглустат Gen.Orph се предлага под формата на капсули от 100 mg, които се приемат през устата. Препоръчителната начална доза за болест на Гоше тип 1 е една капсула три пъти дневно. За болестта на Ниман-Пик тип С дозата е две капсули три пъти дневно за пациенти на възраст 12 и повече години; при по-млади пациенти дозата зависи от телесното тегло и височината. Миглустат Gen.Orph е предназначен за продължителна употреба.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom
Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555
Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



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

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

Как действа Миглустат Gen.Orph?

Активното вещество в Миглустат Dipharma, миглустат (miglustat), блокира действието на ензима, наречен глюкозилцерамид синтаза. Този ензим участва в първия етап на производството на глюкозилцерамид. Предотвратявайки 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 Gen.Orph?

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 Gen.Orph.

Както при всяко лекарство, фирмата е предоставила проучвания за качеството на Миглустат Gen.Orph. 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 Gen.Orph?

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

Защо Миглустат Gen.Orph е разрешен за употреба в ЕС?

Европейската агенция по лекарствата заключи, че в съответствие с изискванията на ЕС е доказано, че Миглустат Gen.Orph е със сравнимо качество и е биоеквивалентен на Zavesca. Затова Агенцията счита, че както при Zavesca, ползите от употребата на Миглустат Gen.Orph 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 Gen.Orph?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Миглустат Gen.Orph, 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 Gen.Orph непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Миглустат Gen.Orph, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Миглустат Gen.Orph:

Миглустат Gen.Orph получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 10 ноември 2017 г.

Допълнителна информация за Миглустат Gen.Orph можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Информация относно референтното лекарство също може да се намери на уебсайта на Агенцията.

Дата на последно актуализиране на текста 06-2019.