



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Miglustat Dipharma (*miglustatum*)

Přehled pro přípravek Miglustat Dipharma a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Miglustat Dipharma a k čemu se používá?

Přípravek Miglustat Dipharma se používá k léčbě dvou dědičných onemocnění, které ovlivňují způsob, jakým tělo zpracovává tuky. Obě onemocnění způsobují hromadění tukových látek zvaných glykosfingolipidy v těle. Přípravek Miglustat Dipharma se používá k léčbě těchto pacientů:

- dospělí (ve věku od 18 let) s mírnou až střední formou Gaucherovy choroby typu 1. Pacientům s tímto onemocněním chybí enzym zvaný glukocerebrosidáza, v důsledku čehož se glykosfingolipid s názvem glukosylceramid hromadí v různých částech těla, například ve slezině, játrech a kostech. Přípravek Miglustat Dipharma se používá u pacientů, pro které není vhodná standardní enzymatická substituční léčba,
- pacienti všech věkových skupin s Niemann-Pickovou chorobou typu C, což je potenciálně smrtelné onemocnění, při kterém se glykosfingolipidy hromadí v buňkách mozku a dalších částech těla. Přípravek Miglustat Dipharma se používá k léčbě neurologických příznaků onemocnění (příznaků postihujících mozek a nervy), mezi něž patří ztráta koordinace, problémy se „sakadickými“ (rychlými) pohyby oka, které mohou vést ke zhoršení zraku, opožděný vývoj, potíže s polykáním, snížení svalového tonu, záchvaty a potíže při učení.

Přípravek Miglustat Dipharma je „generikum“. Znamená to, že přípravek Miglustat Dipharma obsahuje stejnou léčivou látku a účinkuje stejným způsobem jako „referenční léčivý přípravek“, který je již v EU registrován, a sice přípravek Zavesca. Více informací o generikách naleznete v příslušném dokumentu otázek a odpovědí [zde](#).

### Jak se přípravek Miglustat Dipharma používá?

Přípravek Miglustat Dipharma je dostupný ve formě 100mg tobolek určených k užití ústy. Doporučená počáteční dávka je u Gaucherovy choroby typu 1 jedna tableta třikrát denně a u Niemann-Pickovy choroby typu C dvě tablety třikrát denně u pacientů od 12 let věku, přičemž u mladších pacientů

**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



dávka závisí na jejich tělesné hmotnosti a výšce. Přípravek Miglustat Dipharma je určen k dlouhodobému užívání.

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou Gaucherovy choroby.

Více informací o používání přípravku Miglustat Dipharma naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

## **Jak přípravek Miglustat Dipharma působí?**

Léčivá látka v přípravku Miglustat Dipharma, miglustat, blokuje enzym zvaný glukosylceramidsyntáza. Tento enzym se podílí na první fázi tvorby glukosylceramidu. Miglustat může omezit tvorbu glukosylceramidu v buňkách tím, že zabraňuje tomuto enzymu v působení, čímž zmírňuje příznaky Gaucherovy choroby typu 1.

## **Jak byl přípravek Miglustat Dipharma zkoumán?**

Studie přínosů a rizik s léčivou látkou u Gaucherovy choroby již byly provedeny s referenčním léčivým přípravkem Zavesca, a nemusí se tedy opakovat s přípravkem Miglustat Dipharma.

Stejně jako u všech léčivých přípravků provedla společnost studie kvality přípravku Miglustat Dipharma. Společnost také provedla studii, která prokázala, že je přípravek „bioekvivalentní“ s referenčním léčivým přípravkem. Dva léčivé přípravky jsou bioekvivalentní, pokud dosahují stejné hladiny léčivé látky v těle, a proto se očekává, že budou mít stejný účinek.

## **Jaké jsou přínosy a rizika přípravku Miglustat Dipharma?**

Jelikož přípravek Miglustat Dipharma je generikum, které je bioekvivalentní s referenčním léčivým přípravkem, jeho přínosy a rizika se považují za shodné s přínosy a riziky referenčního léčivého přípravku.

## **Na základě čeho byl přípravek Miglustat Dipharma registrován v EU?**

Evropská agentura pro léčivé přípravky dospěla k závěru, že v souladu s požadavky EU bylo prokázáno, že přípravek Miglustat Dipharma je kvalitativně srovnatelný a bioekvivalentní s přípravkem Zavesca. Stanovisko agentury proto bylo takové, že stejně jako u přípravku Zavesca přínosy přípravku Miglustat Dipharma převyšují zjištěná rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Miglustat Dipharma?**

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Miglustat Dipharma, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Miglustat Dipharma průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Miglustat Dipharma jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

## **Další informace o přípravku Miglustat Dipharma**

Přípravku Miglustat Dipharma bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 18. února 2019.

Další informace o přípravku Miglustat Dipharma jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma). Na internetových stránkách agentury jsou rovněž k dispozici informace o referenčním léčivém přípravku.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 06-2019.