



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustatum*)

Přehled pro přípravek Miglustat Gen.Orph a proč byl přípravek registrován v EU

Co je Miglustat Gen.Orph a k čemu se používá?

Přípravek Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph je „generikum“. Znamená to, že přípravek Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph používá?

Přípravek Miglustat Gen.Orph je dostupný ve formě 100mg tobolek určených k užití ústy. Doporučená počáteční dávka je u Gaucherovy choroby typu 1 jedna tobolek třikrát denně a u Niemann-Pickovy choroby typu C dvě tobolky třikrát denně u pacientů od 12 let věku, přičemž u mladších pacientů dávka závisí na jejich tělesné hmotnosti a výšce. Přípravek Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Miglustat Gen.Orph působí?

Léčivá látka v přípravku Miglustat Gen.Orph, 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph.

Stejně jako u všech léčivých přípravků provedla společnost studie kvality přípravku Miglustat Gen.Orph. 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 Gen.Orph?

Jelikož přípravek Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph registrován v EU?

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

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Miglustat Gen.Orph?

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

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

Další informace o přípravku Miglustat Gen.Orph

Přípravku Miglustat Gen.Orph bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 10. listopadu 2017.

Další informace o přípravku Miglustat Gen.Orph jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Na internetových stránkách agentury jsou rovněž k dispozici informace o referenčním léčivém přípravku.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 06-2019.