



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumen del EPAR para el público general

---

### Zavesca miglustat

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Zavesca. En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable para su autorización de comercialización así como unas recomendaciones sobre las condiciones de su uso.

#### ¿Qué es Zavesca?

Zavesca es un medicamento que contiene el principio activo miglustat y se presenta en cápsulas (100 mg).

#### ¿Para qué se utiliza Zavesca?

Zavesca se utiliza para el tratamiento de dos enfermedades hereditarias que afectan al modo en que el organismo procesa las grasas. Ambas enfermedades provocan la acumulación de sustancias grasas llamadas glicosfingolípidos en el organismo. Zavesca se utiliza para el tratamiento de los siguientes pacientes:

- adultos (mayores de 18 años) con la enfermedad de Gaucher de tipo 1 leve a moderada. Los pacientes con esta enfermedad carecen de una enzima denominada glucocerebrosidasa que da lugar a la formación de glicosfingolípidos llamados glucosilceramidas en diferentes partes del organismo, como el bazo, el hígado y los huesos. Zavesca se utiliza en el tratamiento de pacientes a los que no puede administrarse el tratamiento habitual de terapia de sustitución de la enzima (ERT);
- pacientes de todas las edades con la enfermedad Niemann-Pick de tipo C, una enfermedad potencialmente mortal en la que los glicosfingolípidos crecen dentro de las células del cerebro y en otros lugares del organismo. Zavesca se utiliza en el tratamiento de los síntomas «neurológicos» de la enfermedad (síntomas que afectan al cerebro y los nervios). Los síntomas consisten en una pérdida progresiva de la coordinación, problemas con los movimientos



«sacádicos» (rápidos) de los ojos que pueden deteriorar la visión, retraso del desarrollo, dificultad para tragar, disminución del tono muscular, crisis y problemas de aprendizaje.

Dado el escaso número de personas que padecen estas enfermedades, se consideran «raras», y Zavesca fue designado «medicamento huérfano» (medicamento utilizado en enfermedades poco frecuentes) el 18 de octubre de 2000 para la enfermedad de Gaucher de tipo 1 y el 16 de febrero de 2006 para la enfermedad de Niemann Pick de tipo C.

Este medicamento sólo se podrá dispensar con receta médica.

## ¿Cómo se usa Zavesca?

El tratamiento con Zavesca debe ser iniciado y controlado por médicos expertos en el tratamiento de la enfermedad de Gaucher o de la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C.

La dosis de inicio recomendada para el tratamiento de la enfermedad de Gaucher de tipo 1 es de una cápsula administrada tres veces al día. Para la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C, la dosis es de dos cápsulas tres veces al día para pacientes de 12 años o más; en pacientes más jóvenes la dosis depende de su peso y su altura. Zavesca está concebido para una utilización prolongada.

En pacientes con función renal disminuída deberá usarse una dosis más reducida. La dosis también deberá reducirse temporalmente en pacientes que desarrollen diarrea. Para ampliar información, véase el Resumen de características del producto (que también forma parte del EPAR).

## ¿Cómo actúa Zavesca?

El principio activo de Zavesca, el miglustat, impide el funcionamiento de una enzima llamada «glucosilceramida sintasa» que interviene en el primer paso de la producción de los glucoesfingolípidos. Al impedir el funcionamiento de esta enzima, el miglustat reduce la producción de glucoesfingolípidos en las células. Se espera que de este modo se ralentice o se impida el desarrollo de los síntomas de la enfermedad de Gaucher de tipo 1 y se reduzcan los síntomas de la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C.

## ¿Qué tipo de estudios se han realizado con Zavesca?

La eficacia de Zavesca en la enfermedad de Gaucher de tipo 1 se ha investigado en un estudio principal en el que participaron 28 adultos con enfermedad leve a moderada que no podían o eran reticentes a recibir un tratamiento de reposición enzimática. La parte principal del estudio duró un año, pero 13 pacientes continuaron recibiendo el medicamento durante dos años más. El estudio examinó el efecto de Zavesca sobre el tamaño del hígado y el bazo y sobre el recuento de sangre, como el nivel de hemoglobina (una proteína que se encuentra en los glóbulos rojos y transporta el oxígeno por todo el organismo) y el recuento de plaquetas (componentes que contribuyen a la coagulación de la sangre).

La eficacia de Zavesca en la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C se investigó en un estudio principal en el que participaron 31 pacientes, 12 de los cuales eran menores de 12 años. El estudio comparó los efectos de añadir Zavesca al tratamiento estándar, frente a los efectos del tratamiento estándar en monoterapia. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la variación de la velocidad a la que los pacientes hacían movimientos oculares sacádicos horizontales después de un año de tratamiento, pero el estudio también observó otros síntomas neurológicos como la capacidad de los pacientes de tragar y su actividad intelectual. Algunos pacientes fueron tratados durante más de un año y medio. La empresa presentó también los resultados de un estudio con 66 pacientes tratados con Zavesca.

## ¿Qué beneficio ha demostrado tener Zavesca durante los estudios?

En el estudio de la enfermedad de Gaucher de tipo 1 se observaron después de un año disminuciones moderadas en el volumen del hígado (12 % de disminución) y en el volumen del bazo (19 % de disminución). También se registraron ligeras mejoras en los recuentos sanguíneos: Como media, el nivel de hemoglobina aumentó un 0,26 g por decilitro, y el recuento de plaquetas en 8,29 millones por mililitro. Los beneficios de Zavesca persistieron durante tres años de tratamiento continuo.

En el estudio de Niemann-Pick de tipo C, la mejora observada en los movimientos de los ojos fue similar tanto en los pacientes tratados con Zavesca como en los que no recibieron el medicamento. Sin embargo, se observaron signos de mejoría en la capacidad de tragar y en la actividad intelectual de los pacientes tratados con Zavesca. El estudio mostró que con Zavesca se conseguía una estabilización o disminución de la tasa en la que los síntomas empeoraban en aproximadamente tres cuartos de los pacientes.

## ¿Cuál es el riesgo asociado a Zavesca?

Los efectos adversos más frecuentes de Zavesca (observados en más de un paciente de cada 10) son pérdida de peso, pérdida del apetito, temblor, diarrea, flatulencia (gases) y dolor abdominal (de barriga). Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Zaltrap, ver el prospecto.

Zavesca no se debe administrar a personas con hipersensibilidad (alergia) al miglustat o a cualquiera de los otros componentes del medicamento.

## ¿Por qué se ha aprobado Zavesca?

El Comité decidió que los beneficios de Zavesca son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización.

En un principio, Zavesca fue autorizado en «circunstancias excepcionales» ya que, por tratarse de una enfermedad rara, se disponía de información limitada sobre el medicamento en el momento de su autorización. Puesto que la compañía suministró la información adicional requerida, las "circunstancias excepcionales" finalizaron el 23 de agosto de 2012.

## Otras informaciones sobre Zavesca

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Zavesca el 20 de noviembre de 2002.

El EPAR completo de Zavesca se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_report](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_report). Para más información sobre el tratamiento con Zavesca, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Sprycel puede consultarse en el sitio web de la Agencia en [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations):

- Enfermedad de [Gaucher](#):
- [Enfermedad de Nieman-Pick de tipo C](#):

Fecha de la última actualización del presente resumen: 08-2012.