



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Gen.Orph (μιγλουστάτη)

Ανασκόπηση του Miglustat Gen.Orph και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Miglustat Gen.Orph και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Miglustat Gen.Orph χρησιμοποιείται για τη θεραπεία δύο κληρονομικών ασθενειών που επηρεάζουν τον τρόπο με τον οποίο ο οργανισμός χρησιμοποιεί τα λίπη. Και οι δύο ασθένειες προκαλούν τη συσσώρευση στον οργανισμό λιπαρών ουσιών που ονομάζονται γλυκοσφιγγολιπίδια. Το Miglustat Gen.Orph χορηγείται στις ακόλουθες κατηγορίες ασθενών:

- ενήλικες (ηλικίας 18 ετών και άνω) που πάσχουν από ήπιας έως μέτριας μορφής νόσο του Gaucher τύπου 1. Οι ασθενείς που πάσχουν από αυτή τη νόσο δεν διαθέτουν ένα ένζυμο που ονομάζεται γλυκοσερεβροσιδάση, με αποτέλεσμα τη συσσώρευση ενός γλυκοσφιγγολιπιδίου, το οποίο ονομάζεται γλυκοσυλκεραμίδιο, σε διάφορα μέρη του σώματος, όπως ο σπλήνας, το ήπαρ και τα οστά. Το Miglustat Gen.Orph χορηγείται σε ασθενείς που δεν μπορούν να λάβουν τη συνήθη θεραπεία υποκατάστασης ενζύμων (ΘΥΕ)
- ασθενείς κάθε ηλικίας που πάσχουν από τη νόσο Niemann-Pick τύπου C, μια πιθανώς θανατηφόρο ασθένεια κατά την οποία τα γλυκοσφιγγολιπίδια συσσωρεύονται στα κύτταρα του εγκεφάλου και σε άλλα σημεία του σώματος. Το Miglustat Gen.Orph χορηγείται για τη θεραπεία των νευρολογικών συμπτωμάτων της νόσου (συμπτώματα που επηρεάζουν τον εγκέφαλο και τα νεύρα). Αυτά τα συμπτώματα περιλαμβάνουν απώλεια συντονισμού, προβλήματα με σακκαδικές (απότομες) κινήσεις των οφθαλμών που μπορεί να οδηγήσουν σε βλάβες στην όραση, καθυστέρηση στην ανάπτυξη, δυσκολία στην κατάποση, μειωμένο μυϊκό τόνο, κρίσεις και μαθησιακές δυσκολίες.

Το Miglustat Gen.Orph είναι «γενόσημο φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι το Miglustat Gen.Orph περιέχει την ίδια δραστική ουσία και δρα κατά τον ίδιο τρόπο όπως το «φάρμακο αναφοράς» που είναι ήδη εγκεκριμένο στην ΕΕ και ονομάζεται Zavesca. Περισσότερες πληροφορίες για τα γενόσημα φάρμακα περιέχονται στο κείμενο ερωτήσεων-απαντήσεων που διατίθεται [εδώ](#).

Πώς χρησιμοποιείται το Miglustat Gen.Orph;

Το Miglustat Gen.Orph διατίθεται υπό μορφή καψακίων 100 mg για από του στόματος λήψη. Η συνιστώμενη δόση έναρξης για τη νόσο του Gaucher τύπου 1 είναι ένα καψάκιο τρεις φορές την ημέρα. Για τη νόσο Niemann-Pick τύπου C, η συνιστώμενη δόση έναρξης είναι δύο καψάκια τρεις φορές



ημερησίως για ασθενείς ηλικίας 12 ετών και άνω, ενώ σε ασθενείς νεαρότερης ηλικίας, η δόση εξαρτάται από το βάρος και το ύψος τους. Το Miglustat Gen.Orph προορίζεται για μακροχρόνια χρήση.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρούς με πείρα στη διαχείριση της νόσου του Gaucher.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Miglustat Gen.Orph, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Miglustat Gen.Orph;

Η δραστική ουσία του Miglustat Gen.Orph, η μιγλουστάτη, εμποδίζει τη δράση ενός ενζύμου που ονομάζεται συνθάση του γλυκοσυλιοκεραμιδίου. Το ένζυμο αυτό μετέχει στο πρώτο στάδιο παραγωγής του γλυκοσυλιοκεραμιδίου. Προλαμβάνοντας τη δράση του ενζύμου, η μιγλουστάτη μπορεί να μειώσει την παραγωγή γλυκοσυλιοκεραμιδίου στα κύτταρα και, κατά συνέπεια, να μειώσει τα συμπτώματα της νόσου του Gaucher τύπου 1.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Miglustat Gen.Orph;

Έχουν ήδη πραγματοποιηθεί μελέτες για το φάρμακο αναφοράς Zavesca, προκειμένου να καταδειχθούν τα οφέλη και οι κίνδυνοι της δραστικής ουσίας για τη νόσο του Gaucher και δεν χρειάζεται να επαναληφθούν για το Miglustat Gen.Orph.

Όπως απαιτείται για κάθε φάρμακο, η εταιρεία προσκόμισε δεδομένα μελετών σχετικά με την ποιότητα του Miglustat Gen.Orph. Η εταιρεία διεξήγαγε επίσης μελέτη προκειμένου να αποδειχθεί η «βιοϊσοδυναμία» του Miglustat Gen.Orph με το φάρμακο αναφοράς. Δύο φάρμακα είναι βιοϊσοδύναμα όταν παράγουν τα ίδια επίπεδα δραστικής ουσίας στον οργανισμό και επομένως αναμένεται να έχουν την ίδια επίδραση.

Ποια είναι τα οφέλη και οι κίνδυνοι του Miglustat Gen.Orph;

Δεδομένου ότι το Miglustat Gen.Orph είναι γενόσημο φάρμακο και βιοϊσοδύναμο με το φάρμακο αναφοράς, τα οφέλη και οι κίνδυνοι που συνδέονται με αυτό ταυτίζονται με τα οφέλη και τους κινδύνους του φαρμάκου αναφοράς.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Miglustat Gen.Orph στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι, σύμφωνα με τις απαιτήσεις της ΕΕ, έχει αποδειχθεί ότι το Miglustat Gen.Orph είναι συγκρίσιμης ποιότητας και βιοϊσοδύναμο με το Zavesca. Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός έκρινε ότι, όπως για το Zavesca, τα οφέλη του Miglustat Gen.Orph υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων και εισηγήθηκε τη χρήση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Miglustat Gen.Orph;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Miglustat Gen.Orph.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Miglustat Gen.Orph τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που επισμαίνονται με το Miglustat Gen.Orph αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Miglustat Gen.Orph

Το Miglustat Gen.Orph έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 10 Νοεμβρίου 2017.

Περισσότερες πληροφορίες για το Miglustat Gen.Orph διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Πληροφορίες για το φάρμακο αναφοράς διατίθενται επίσης στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 06-2019.