



Лондон, 19 март 2008 г.
Номер на документа ЕМЕА/186538/2008

За този продукт по-късно в ЕМЕА отново е подадено Заявление за разрешаване за употреба. За информация относно резултата от повторното подаване, вижте [ТУК](#).

ВЪПРОСИ И ОТГОВОРИ ОТНОСНО ОТТЕГЛЯНЕТО НА ЗАЯВЛЕНИЕТО ЗА ПРОМЯНА В РАЗРЕШЕНИЕТО ЗА УПОТРЕБА

за ZAVESCA

Международно непатентовано име (INN): *миглустат*

На 19 февруари 2008 г. Actelion Registration Ltd. уведомява официално Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за ново показание на Zavesca – лечение на неврологични прояви при пациенти с болестта на Ниман-Пик тип С.

Какво представлява Zavesca?

Zavesca представлява твърда бяла капсула, която съдържа активното вещество миглустат. Използва се за лечението на лека до умерена болест на Гоше тип 1. Болестта на Гоше е рядко наследствено заболяване, засягащо начина, по който тялото обработва мазнините. При пациентите с това заболяване в различни части на тялото, например далака, черния дроб и костите, се натрупва мастно вещество, наречено глицозилцерамид.

За какво се е очаквало да се използва Zavesca?

При новото показание се е очаквало Zavesca да се използва за лечение на неврологичните симптоми на болестта на Ниман-Пик тип С (засягаща мозъка и нервната система). Болестта на Ниман-Пик тип С е рядко наследствено заболяване, засягащо начина, по който тялото обработва мазнините. При пациентите с това заболяване в клетките на мозъка, както и по други места в тялото, се натрупват мастни вещества, като например гликосфинголипиди. Симптомите включват напредваща загуба на координация, проблеми, изразяващи се в сакадни (бързи) движение на очите, които могат да доведат до нарушено зрение, забавено развитие, затруднено преглъщане, повишен мускулен тонус и затруднения в обучението. Заболяването може да доведе до деменция и обичайно завършва със смърт преди пациентът да достигне зряла възраст.

Zavesca е определен за „лекарство сирак“ на 16 февруари 2006 г. с показание болест на Ниман-Пик тип С.

Как се очаква да действа Zavesca?

Миглустат, активното вещество в Zavesca, не позволява на определен ензим, наречен глицозилцерамид синтетаза, да функционира. Този ензим участва в първия етап от производството на гликосфинголипиди. Като не дава възможност на ензима да функционира, миглустат може да понижи производството на гликосфинголипиди в клетките. Така се очаква да отслаби симптомите на заболяването.

Каква информация е представила компанията в подкрепа на своето заявление пред СНМР?

Преди провеждане на проучвания при хора ефектите на Zavesca са изследвани върху експериментални модели.

Ефективността на Zavesca е проучена в едно основно проучване, обхващащо 29 пациенти на възраст 12 и повече години с болестта на Ниман-Пик тип С. Проучването сравнява ефектите от прибавяне на Zavesca, приеман в доза от 200 mg три пъти дневно, към стандартната терапия с ефектите на стандартната терапия самостоятелно. Лекарството е проучено и при 12 пациенти на възраст по-малко от 12 години. Основната лякра на ефективността е промяната в скоростта, с която пациентите извършват сакадни хоризонтални движения на очите след едногодишно лечение.

Компанията представя и допълнителна информация от световно изследване сред пациенти с болестта на Ниман-Пик тип С, които са лекувани с миглустат извън основното проучване. Има информация от 23 пациенти.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Оценката е приключила и становището на СНМР е отрицателно. Компанията иска преразглеждане на отрицателното становище, но към момента на оттеглянето то не е завършено.

Каква са препоръките на СНМР към онзи момент?

Въз основа на прегледа на информацията и отговорите на компанията по списъка с въпроси на СНМР, към момента на оттеглянето становището на СНМР е отрицателно и Комитетът не препоръчва одобряването на Zavesca за лечение на неврологични прояви при пациенти с болестта на Ниман-Пик тип С.

Какви са основните опасения на СНМР?

СНМР признава, че не съществуват алтернативни лечения за болестта на Ниман-Пик тип С, но има опасения, че ползата от Zavesca при лечението на неврологичните симптоми на болестта на Ниман-Пик тип С не е демонстрирана в достатъчна степен. Лекарството демонстрира твърде ограничена полза в основното проучване: налице е твърде малка разлика в промяната на скоростта на движенията на очите между приемалите Zavesca пациенти и онези, получавали стандартна терапия, а и съществува несигурност относно това дали разглеждането на движенията на очите е най-добрият начин за измерване ефективността на лекарството. Освен това Zavesca се свързва и с нежелани реакции, засягащи стомаха и червата, както и със случаи на загуба на тегло и тромбоцитопения (понижен общ брой на тромбоцитите). Поради това, към момента становището на СНМР е, че ползите от Zavesca при лечението на неврологични прояви при болестта на Ниман-Пик тип С не превишават рисковете.

Какви причини посочва компанията за оттеглянето на заявлението?

Писмото, с което компанията уведомява ЕМЕА за оттеглянето на заявлението, може да се намери [тук](#).

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитания или програми за палиативна употреба със Zavesca?

Компанията уведомява СНМР, че няма последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания или в програми за палиативна употреба със Zavesca. Ако участвате в клинично изпитване или в програма за палиативна употреба и се нуждаете от повече информация за Вашето лечение, попитайте назначаващия лекар.

Какво става със Zavesca по отношение на лечението на болестта на Гоше тип 1?

Няма последствия относно употребата на Zavesca за одобреното показание, за което съотношението полза/риск остава непроменено.