



Posteriormente se ha presentado una nueva solicitud de autorización para este medicamento. Pinche [aquí](#) para obtener más información.

**PREGUNTAS Y RESPUESTAS SOBRE LA RETIRADA DE LA SOLICITUD DE
MODIFICACIÓN DE LA AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN
de
ZAVESCA**

Denominación común internacional (DCI): *miglustat*

El 19 de febrero de 2008, Actelion Registration Ltd. notificó oficialmente al Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) que deseaba retirar su solicitud de una nueva indicación para Zavesca para el tratamiento de las manifestaciones neurológicas de los pacientes con enfermedad de Niemann-Pick de tipo C.

¿Qué es Zavesca?

Zavesca es una cápsula dura de color blanco que contiene el principio activo miglustat. Se utiliza para tratar la enfermedad de Gaucher de tipo 1 leve o moderada. La enfermedad de Gaucher es una enfermedad hereditaria rara que afecta al modo en que el organismo procesa las grasas. En estos enfermos, se produce la acumulación de una sustancia grasa, llamada glucosilceramida, en distintas partes del cuerpo, como el bazo, el hígado y los huesos.

¿A qué uso estaba destinado Zavesca?

En la nueva indicación, Zavesca iba a utilizarse para tratar los síntomas 'neurológicos' de la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C (que afecta al cerebro y al sistema nervioso). La enfermedad de Niemann-Pick de tipo C es una enfermedad hereditaria rara que afecta al modo en que el organismo procesa las grasas. En estos enfermos, las sustancias grasas, como los 'glucoesfingolípidos' se acumulan en las células del cerebro y en otras partes del organismo. 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, aumento del tono muscular, crisis y problemas de aprendizaje. La enfermedad puede producir demencia y normalmente es mortal antes de alcanzar la edad adulta.

Zavesca fue designado medicamento huérfano el 16 de febrero de 2006 para la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C.

¿Cómo está previsto que actúe Zavesca?

El miglustat, el principio activo de Zavesca, impide el funcionamiento de una enzima llamada 'glucosilceramida sintasa'. Esta enzima 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 disminuyan los síntomas de la enfermedad.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de la solicitud remitida al CHMP?

Los efectos de Zavesca se probaron en modelos de laboratorio antes de ser estudiados en seres humanos.

La eficacia de Zavesca se ha investigado en un estudio principal que contó con 29 pacientes de 12 años en adelante con enfermedad de Niemann-Pick de tipo C. El estudio comparó los efectos de la adición de Zavesca en dosis de 200 mg tres veces al día al tratamiento habitual con los efectos del tratamiento habitual solo. El medicamento se estudió también en 12 pacientes menores de 12 años. 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. La empresa presentó también información adicional procedente de una encuesta mundial de pacientes con la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C que habían recibido tratamiento con miglustat al margen del estudio principal. Se disponía de información sobre 23 pacientes.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La evaluación había concluido y el CHMP había emitido un dictamen negativo. La empresa había pedido la revisión del dictamen negativo, pero ésta aún no había concluido cuando la empresa retiró la solicitud.

¿Qué recomendaba el CHMP en aquel momento?

Estudiada la documentación y las respuestas de la empresa a la lista de preguntas del CHMP, en el momento de la retirada el CHMP había emitido un dictamen negativo y no recomendaba que se autorizara la comercialización de Zavesca para el tratamiento de las manifestaciones neurológicas de los pacientes con enfermedad de Niemann-Pick de tipo C.

¿Cuáles fueron las reservas principales del CHMP?

El CHMP admitió que no existen tratamientos alternativos para la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C, pero expresó su preocupación porque no habían quedado suficientemente demostrados los beneficios de Zavesca como tratamiento de los síntomas neurológicos de la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C. El medicamento mostró muy pocos beneficios en el estudio principal: la diferencia en la variación de la velocidad de los movimientos oculares entre los pacientes tratados con Zavesca y los que recibieron la asistencia habitual fue sólo marginal, y se plantearon dudas sobre si la exploración de los movimientos oculares era la mejor manera de medir la eficacia del medicamento. Zavesca se asoció también a efectos secundarios que afectaban al estómago y el intestino, así como a casos de pérdida de peso y trombocitopenia (número bajo de plaquetas en la sangre). Por consiguiente, en ese momento, el CHMP dictaminó que los beneficios de Zavesca en el tratamiento de las manifestaciones neurológicas de la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C no superaban a los riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

El escrito de retirada remitido por la empresa a la EMEA puede encontrarse [aquí](#).

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo que utilizan Zavesca?

La empresa informó al CHMP de que no tenía consecuencias para los pacientes que actualmente participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo con Zavesca. Si participa usted en un ensayo clínico o un programa de uso compasivo y precisa más información sobre su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.

¿En qué situación queda Zavesca para el tratamiento de la enfermedad de Gaucher de tipo 1?

La retirada no tiene consecuencias sobre la utilización de Zavesca en la indicación autorizada, cuya relación riesgo/beneficio permanece invariable.