



Informatsioon selle ravimi kohta esitati EMEA-le uuesti läbivaatamiseks. Informatsiooni lõpptulemuse leiata [siit](#).

TEAVE MÜÜGILOA MUUTMISTAOTLUSE TAGASIVÕTMISE KOHTA ZAVESCA

Rahvusvaheline mittekaubanduslik nimetus (INN): *miglustaat*

19. veebruaril 2008 teatas Actelion Registration Ltd ametlikult inimravimikomiteele oma soovist võtta tagasi uue näidustusena C-tüüpi Niemanni-Picki tõve neuroloogiliste sümptomite raviks kasutada kavatsatud ravimi Zavesca müügiloa taotlus.

Mis on Zavesca?

Zavesca on valge kõvakapsel, mis sisaldab toimeainena miglustaati. Seda kasutatakse kerge või mõõduka I tüüpi Gaucher' tõve raviks. Gaucher' tõbi on harvaesinev pärilik haigus, mis mõjutab rasvade ainevahetust organismis. Selle haigusega patsientidel koguneb eri kehaosadesse, näiteks põrna, maksa ja luudesse, rasvainet glükosüülseramiidi.

Milleks kavatseti Zavescat kasutada?

Uue näidustuse puhul kavatseti Zavescat kasutada C-tüüpi (aju ja närvisüsteemi kahjustava) Niemanni-Picki tõve neuroloogiliste sümptomite raviks. C-tüüpi Niemanni-Picki tõbi on harvaesinev pärilik haigus, mis mõjutab rasvade ainevahetust organismis. Selle haigusega patsientidel ladestub ajurakkudesse ja mujale organismis rasvaineid glükosfingolipiide. Sümptomiteks on progresseeruv koordineerimisvõime halvenemine, sakaadiliste (aktiivse vaatlemisega seotud kiirete) silmaliigutuste häired, mis võivad halvendada nägemist, arengupeetus, neelamisraskused, lihastoonuse tõus, krampid ja õppimisraskused. Haigus võib põhjustada dementsust ning lõpeb tavaliselt surmaga enne patsiendi täiskasvanuikka jõudmist.

16. veebruaril 2006 nimetati Zavesca harvkravimiks, millega ravitakse C-tüüpi Niemanni-Picki tõbe.

Milline on Zavesca eeldatav toime?

Zavescas toimeainena sisalduv miglustaat pärsib ensüümi glükosüülseramiidsüntaasi toimet. See ensüüm osaleb glükosfingolipiidide tekke esimesel etapil. Ensüümi toime pärssimisega võib miglustaat vähendada glükosfingolipiidide teket rakkudes. See aitab eeldatavalt selle haiguse sümptomeid leevendada.

Mis dokumendid esitas ettevõtte inimravimikomiteele oma taotluse toetuseks?

Enne inimuuringuid kontrolliti Zavesca toimet muude katsetega.

Zavesca efektiivsust uuriti ühes põhiuuringus, milles osales 29 vähemalt 12-aastast C-tüüpi Niemanni-Picki tõvega patsienti. Uuringus võrreldi Zavesca toimet selle lisamisega annuses 200 mg kolm korda päevas tavapärasele ravile ainult tavapärase ravi kasutamisele. Ravimit uuriti ka 12 patsiendil vanuses alla 12 aasta. Efektiivsust mõõdeti põhiliselt patsientidel sakaadiliste horisontaalsete silmaliigutuste kiiruses pärast üheaastast ravi toimunud muutuse järgi.

Ettevõtte esitas lisateavet ka ülemaailmse C-tüüpi Niemanni-Picki tõvega patsientide uuringu tulemuste kohta, milles patsiente oli ravitud väljaspool põhiuuringut miglustaadiga. Andmeid oli 23 patsiendi kohta.

Millises järgus oli müügiloo taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Hindamine oli lõppenud ja inimravimikomitee oli andnud negatiivse arvamuse. Ettevõtte oli taotlenud negatiivse arvamuse ülevaatamist, kuid see ei olnud ajaks, mil ettevõtte taotluse tagasi võttis, veel lõppenud.

Milline oli sel ajal inimravimikomitee soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele inimravimikomitee esitatud küsimustele, oli komitee andnud taotluse tagasivõtmise ajal negatiivse arvamuse ega soovitanud anda Zavesca C-tüüpi Niemann-Picki tõve neuroloogiliste sümptomite ravis kasutamiseks müügiluba.

Mis olid inimravimikomitee ettevaatlikkuse peamised põhjused?

Inimravimikomitee mõõnis, et C-tüüpi Niemann-Picki tõve muu ravi puudub, kuid nägi põhjust ettevaatlikkuseks seetõttu, et Zavesca kasulikkust C-tüüpi Niemann-Picki tõve neuroloogiliste sümptomite ravis ei olnud piisavalt tõestatud. Ravimi kasulikkus põhiuuringus oli väga väike: Zavesca kasutanud patsientide ja tavapäraselt ravi kasutanud patsientide silmaliigutuste kiiruse vahe oli väga väike ning ei olnud kindel, kas silmaliigutuste jälgimine on parim viis ravimi efektiivsuse mõõtmiseks. Zavesca kasutamise kaasaes ka mao ja soolte kõrvalnähte, samuti kehakaalu languse ja trombotsütopeeniat (trombotsüütide vähesus) juhte.

Inimravimikomitee oli tagasivõtmise ajal seepärast arvamusel, et Zavesca kasulikkust C-tüüpi Niemann-Picki tõve neuroloogiliste sümptomite ravis ei ületa ravimiga kaasnevaid riske.

Mis põhjustel ettevõtte taotluse tagasi võttis?

Ettevõtte kiri, milles ta teatab Euroopa Raviametile oma taotluse tagasivõtmisest, on avaldatud [siin](#).

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu Zavesca kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas inimravimikomiteele, et praegu Zavesca kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevatele patsientidele tagasivõtmine mõju ei avalda. Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise programmis ja vajate oma ravi kohta lisateavet, pöörduge palun arsti poole, kes teile ravi määrab.

Mis toimub Zavesca kasutamisel I tüüpi Gaucher' tõve raviks?

Tagasivõtmine ei avalda mõju Zavesca kasutamisele nende näidustuste raviks, mille kohta on müügiluba juba antud ning mille korral jääb kasulikkuse ja riski suhe muutumatuks.