



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88215/2017  
EMEA/H/C/004016

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

### Yargesa miglustatum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Yargesa. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Yargesa používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Yargesa, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

### Co je Yargesa a k čemu se používá?

Yargesa je léčivý přípravek používaný k léčbě dospělých s mírnou až střední formou Gaucherovy choroby typu 1.

Pacientům s tímto onemocněním chybí enzym, který štěpí určitý typ tuku s názvem glukosylceramid. V důsledku toho se glukosylceramid hromadí v různých částech těla, například ve slezině, játrech a kostech. Přípravek Yargesa se používá u pacientů, pro které není vhodná enzymatická substituční léčba.

Přípravek Yargesa je „generikum“. Znamená to, že přípravek Yargesa obsahuje stejnou léčivou látku (miglustat) a působí stejně jako „referenční léčivý přípravek“, který je již v Evropské unii registrován, a sice přípravek Zavesca. Více informací o generikách naleznete v příslušném dokumentu otázek a odpovědí [zde](#).



## **Jak se přípravek Yargesa používá?**

Přípravek Yargesa je dostupný ve formě 100mg tobolek určených k podání ústy. Doporučená počáteční dávka je jedna tableta třikrát denně. Pacientům s poruchou funkce jater a pacientům, u nichž se objeví průjem, by měla být podávána nižší dávka.

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis, přičemž léčbu by měl vést lékař, který má zkušenosti s léčbou Gaucherovy choroby.

Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

## **Jak přípravek Yargesa působí?**

Léčivá látka v přípravku Yargesa, miglustat, zabraňuje působení enzymu s názvem glukosylceramidsyntáza. Tento enzym se podílí na první fázi tvorby glucosylceramidu. Miglustat může omezit tvorbu glucosylceramidu v buňkách tím, že zabraňuje tomuto enzymu v působení, čímž mírní příznaky Gaucherovy choroby typu 1.

## **Jak byl přípravek Yargesa zkoumán?**

Studie přínosů a rizik uvedené léčivé látky v rámci schváleného použití již byly provedeny u referenčního léčivého přípravku Zavesca, pro přípravek Yargesa je proto není nutné opakovat.

Stejně jako v případě jiných léčivých přípravků předložila společnost pro přípravek Yargesa studie kvality. Společnost provedla také studii, která prokázala, že přípravek Yargesa je bioekvivalentní s referenčním léčivým přípravkem. Dva léčivé přípravky jsou bioekvivalentní, pokud produkují stejné hladiny léčivé látky v těle, a tudíž se u nich předpokládá stejný účinek.

## **Jaké jsou přínosy a rizika přípravku Yargesa?**

Jelikož přípravek Yargesa je generikum, které je bioekvivalentní s referenčním léčivým přípravkem, jeho přínosy a rizika se považují za shodné s přínosy a riziky referenčního léčivého přípravku.

## **Na základě čeho byl přípravek Yargesa schválen?**

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury dospěl k závěru, že v souladu s požadavky Evropské unie bylo prokázáno, že přípravek Yargesa je kvalitativně srovnatelný a bioekvivalentní s přípravkem Zavesca. Stanovisko výboru CHMP proto bylo takové, že stejně jako u přípravku Zavesca přínosy přípravku Yargesa převyšují zjištěná rizika. Výbor doporučil, aby přípravek Yargesa byl schválen k použití v EU.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Yargesa?**

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Yargesa, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

## **Další informace o přípravku Yargesa**

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Yargesa je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další

informace o léčbě přípravkem Yargesa naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Na internetových stránkách agentury je rovněž k dispozici plné znění zprávy EPAR pro referenční léčivý přípravek.