



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR – sammendrag for offentligheden

---

# Yargesa

## miglustat

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Yargesa. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Yargesa bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Yargesa, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

### Hvad er Yargesa, og hvad anvendes det til?

Yargesa er et lægemiddel, der anvendes til behandling af voksne med mild til moderat Gauchers sygdom, type 1.

Patienter med denne sygdom mangler et enzym, der nedbryder en type fedt kaldet glucosylceramid. Det medfører, at glucosylceramid ophobes flere steder i kroppen, f.eks. i milten, leveren og knoglerne. Yargesa bruges hos patienter, der ikke kan få enzymsubstitutionsbehandling.

Yargesa er et "generisk lægemiddel". Det betyder, at det indeholder det samme aktive stof (miglustat) og virker på samme måde som et "referencelægemiddel" kaldet Zavesca, der allerede er godkendt i Den Europæiske Union (EU). Der kan indhentes yderligere oplysninger om generiske lægemidler i dokumentet med spørgsmål og svar [her](#).

### Hvordan anvendes Yargesa?

Yargesa fås som kapsler a 100 mg, der tages gennem munden. Den anbefalede startdosis er én kapsel tre gange dagligt. En lavere dosis bør anvendes hos patienter med nedsat nyrefunktion og hos dem, der får diarré.



Lægemidlet udleveres kun efter recept, og behandlingen bør følges af læger med erfaring i håndtering af Gauchers sygdom.

De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

## **Hvordan virker Yargesa?**

Det aktive stof i Yargesa, miglustat, forhindrer et enzym kaldet glucosylceramidsyntase i at virke. Dette enzym har betydning for det første trin i dannelsen af glucosylceramid. Ved at forhindre enzymet i at virke kan miglustat mindske produktionen af glucosylceramid i cellerne og derved reducere symptomerne på Gauchers sygdom, type 1.

## **Hvordan blev Yargesa undersøgt?**

Der er allerede gennemført undersøgelser af fordelene og risiciene ved det aktive stof i den godkendte anvendelse med referencelægemidlet, Zavesca, og det er ikke nødvendigt at gentage disse med Yargesa.

Som for alle lægemidler fremlagde virksomheden undersøgelser af kvaliteten af Yargesa. Virksomheden gennemførte også en undersøgelse, der viste, at lægemidlet er "bioækvivalent" med referencelægemidlet. To lægemidler er bioækvivalente, når de danner den samme mængde af det aktive stof i kroppen og derfor forventes at have samme virkning.

## **Hvilke fordele og risici er der forbundet med Yargesa?**

Da Yargesa er et generisk lægemiddel, som er bioækvivalent med referencelægemidlet, anses benefit/risk-forholdet for at være det samme som for referencelægemidlet.

## **Hvorfor blev Yargesa godkendt?**

Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at det i overensstemmelse med EU's krav er påvist, at Yargesa er af sammenlignelig kvalitet og er bioækvivalent med Zavesca. Det var derfor CHMP's opfattelse, at fordelene opvejer de identificerede risici som for Zavesca. Udvalget anbefalede, at Yargesa godkendes til anvendelse i EU.

## **Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Yargesa?**

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Yargesa.

## **Andre oplysninger om Yargesa**

Den fuldstændige EPAR for Yargesa findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Yargesa, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Den fuldstændige EPAR for referencelægemidlet findes også på agenturets websted.