



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Julkinen EPAR-yhteenveto

---

# Yargesa

## miglustaatti

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Yargesa-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Yargesan käytöstä.

Potilas saa Yargesan käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Mitä Yargesa on ja mihin sitä käytetään?

Yargesa on lääke, jolla hoidetaan lievää tai kohtalaista tyypin 1 Gaucherin tautia sairastavia aikuisia.

Potilaille, joilla on tämä sairaus, ei ole glukosyylikeramidirasvaa pilkkovaa entsyymiä. Tästä johtuen glukosyylikeramidia kertyy kehon eri osiin, kuten pernaan, maksaan ja luustoon. Yargesaa annetaan potilaille, joille entsymikorvaushoito ei sovi.

Yargesa on ns. geneerinen lääkevalmiste. Tämä merkitsee sitä, että Yargesa sisältää samaa vaikuttavaa ainetta (miglustaatti) ja vaikuttaa samalla tavoin kuin Euroopan unionin (EU) alueella jo myyntiluvan saanut alkuperäisvalmiste Zavesca. Lisätietoja geneerisistä lääkkeistä on [kysymyksiä ja vastauksia](#) sisältävässä asiakirjassa.

### Miten Yargesaa käytetään?

Yargesaa on saatavana 100 mg:n kapseleina, jotka otetaan suun kautta. Suositeltu aloitusannos on yksi kapseli kolme kertaa päivässä. Potilaille, joilla on munuaisten vajaatoimintaa tai lääkkeestä aiheutuvaa ripulia, annetaan pienempi annos lääkettä.

Yargesaa on reseptilääke. Hoidon saa aloittaa ja sitä tulee valvoa ainoastaan lääkäri, jolla on kokemusta Gaucherin taudin hoitamisesta.



Lisätietoja on pakkausselosteessa.

## **Miten Yargesä vaikuttaa?**

Yargesan vaikuttava aine miglustaatti ehkäisee glukosyylikeramidi-nimisen entsyymin toimintaa. Tämä entsyymi on mukana glukosyylikeramidin tuotannon ensimmäisessä vaiheessa. Estämällä entsyymin toimintaa miglustaatti vähentää glukosyylikeramidin tuotantoa soluissa ja vähentää näin myös tyyppin 1 Gaucherin taudin oireita.

## **Miten Yargesaa on tutkittu?**

Myyntiluvan jo saaneen alkuperäislääke Zavescan vaikuttavan aineen hyötyä ja riskejä on jo tutkittu, joten uusia tutkimuksia ei tarvitse tehdä Yargesan osalta.

Yhtiö toimitti Yargesan laatua koskevia tutkimuksia, kuten kaikkien lääkkeiden osalta tehdään. Yhtiö teki myös tutkimuksen osoittaakseen, että lääke on biologisesti samanarvoinen alkuperäislääkkeeseen nähden. Kaksi lääkettä on biologisesti samanarvoisia, kun ne tuottavat saman määrän vaikuttavaa ainetta kehossa.

## **Mitkä ovat Yargesan hyödyt ja riskit?**

Koska Yargesä on geneerinen lääkevalmiste ja biologisesti samanarvoinen alkuperäislääkkeeseen nähden, sen hyödyn ja riskien katsotaan olevan samat kuin alkuperäislääkkeen.

## **Miksi Yargesä on hyväksytty?**

Lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Yargesan on osoitettu olevan laadullisesti vertailukelpoinen ja biologisesti samanarvoinen Zavescaan nähden EU:n vaatimusten mukaisesti. Näin ollen lääkevalmistekomitea katsoo, että Zavescan tavoin sen hyöty on havaittuja riskejä suurempi. Komitea suositteli, että Yargesä hyväksytään käyttöön EU:ssa.

## **Miten voidaan varmistaa Yargesan turvallinen ja tehokas käyttö?**

Suosituksia ja varotoimia, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Yargesan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

## **Muita tietoja Yargesasta**

Yargesaa koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisätietoja Yargesalla annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Alkuperäisvalmisteen EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan myös EMA:n verkkosivustolla.