



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

### Yargesa miglusztát

Ez a dokumentum a Yargesa-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Yargesa alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Yargesa alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

### Milyen típusú gyógyszer a Yargesa és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Yargesa az enyhe vagy közepes, 1-es típusú Gaucher-betegségben szenvedő felnőttek kezelésére szolgáló gyógyszer.

Az ebben a betegségben szenvedő betegeknél hiányzik egy enzim, amely lebontja a glükoszilceramid nevű zsírtípust. Ennek eredményeként a glükoszilceramid felhalmozódik a test különböző részeiben, így lépben, a májban és a csontokban. A Yargesa-t azoknál a betegeknél alkalmazzák, akik nem részesülhetnek enzimpótló terápiaiban.

A Yargesa „generikus gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy a Yargesa ugyanazt a hatóanyagot (miglusztát) tartalmazza és ugyanolyan módon hat, mint egy az Európai Unióban (EU) már engedélyezett, Zavesca nevű „referencia-gyógyszer”. A generikus gyógyszerekkel kapcsolatban további információ [ebben](#) a kérdés-válasz dokumentumban található.



## Hogyan kell alkalmazni a Yargesa-t?

A Yargesa szájon át szedhető kapszulák formájában kapható. A javasolt kezdő adag egy kapszula naponta háromszor. Alacsonyabb adag alkalmazandó csökkent vesefunkciójú és hasmenésben szenvedő betegeknél.

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a Gaucher-betegség kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

További információ a betegtájékoztatóban található.

## Hogyan fejt ki hatását a Yargesa?

A Yargesa hatóanyaga, a miglusztát, megakadályozza a glükoszilceramid-szintáznak nevezett enzim működését. Ez az enzim a glükoszilceramid előállításának első fázisában vesz részt. Az enzim működésének megakadályozásával a miglusztát csökkenteni tudja a sejtekben a glükoszilceramid előállítását, enyhítve ezzel az 1-es típusú Gaucher-betegség tüneteit.

## Milyen módszerekkel vizsgálták a Yargesa-t?

A javasolt alkalmazásban a hatóanyag előnyeire és kockázataira irányuló vizsgálatokat már elvégezték a referencia-gyógyszerrel, a Zavesca-val, így ezeket nem szükséges megismételni a Yargesa esetében.

Mint minden gyógyszer esetében, a vállalat a Yargesa minőségére vonatkozó vizsgálatokat nyújtott be. A vállalat elvégzett egy vizsgálatot is, amely igazolta a referencia-gyógyszerrel való biológiai egyenértékűséget. Két gyógyszer akkor biológiailag egyenértékű, ha ugyanolyan hatóanyagszintet eredményeznek a szervezetben, így hatásuk várhatóan egyezik.

## Milyen előnyökkel és kockázatokkal jár a Yargesa alkalmazása?

Mivel a Yargesa generikus készítmény, és biológiailag egyenértékű a referencia-gyógyszer, előnyei és kockázatai azonosnak tekintendők a referencia-gyógyszer előnyeivel és kockázataival.

## Miért engedélyezték a Yargesa forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy az EU követelményeinek megfelelően a Yargesa minőségi szempontból összehasonlíthatónak és biológiailag egyenértékűnek bizonyult a Zavesca-val. Ezért a CHMP-nek az volt a véleménye, hogy a Zavesca-hoz hasonlóan az alkalmazás előnyei meghaladják annak azonosított kockázatait. A bizottság javasolta a Yargesa EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

## Milyen intézkedések vannak folyamatban a Yargesa biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Yargesa biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

## A Yargesa-val kapcsolatos egyéb információ

A Yargesa-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Amennyiben a Yargesa-val történő

kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A referencia-gyógyszerre vonatkozó teljes EPAR szintén megtalálható az Ügynökség weboldalán.