



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Súhrn správy EPAR pre verejnosť

---

# Yargesa

miglustat

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Yargesa. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Yargesa.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Yargesa, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

## Čo je liek Yargesa a na čo sa používa?

Yargesa je liek na liečbu dospelých pacientov s Gaucherovou chorobou typu 1 mierneho až stredne závažného stupňa.

Pacientom s touto chorobou chýba enzým, ktorý odbúrava určitý druh tuku nazývaný glukozylceramid. Má to za následok ukladanie glukozylceramidu v rôznych častiach tela, ako je slezina, pečeň a kosti. Liek Yargesa sa používa u pacientov, ktorí nemôžu dostávať enzýmovú substitučnú liečbu.

Yargesa je tzv. generický liek. To znamená, že obsahuje rovnakú účinnú látku (miglustat) a pôsobí rovnakým spôsobom ako tzv. referenčný liek, ktorý je už v Európskej únii (EÚ) povolený pod názvom Zavesca. Viac informácií o generických liekoch sa nachádza v dokumente s otázkami a odpoveďami [tu](#).

## Ako sa liek Yargesa používa?

Liek Yargesa je dostupný vo forme 100 mg kapsúl, ktoré sa užívajú cez ústa. Odporúčaná úvodná dávka je jedna kapsula užívaná trikrát denne. U pacientov so zníženou funkciou obličiek a u tých, u ktorých sa vyskytne hnačka, sa má používať nižšia dávka.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou Gaucherovej choroby.

---

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Akým spôsobom liek Yargesa účinkuje?**

Účinná látka v lieku Yargesa, miglustat, bráni pôsobeniu enzýmu nazývaného glukozylceramidsyntáza. Tento enzým sa podieľa na prvej fáze produkcie glukozylceramidu. Tým, že bráni pôsobeniu enzýmu, môže miglustat znižovať tvorbu glykozylceramidu v bunkách a zmierňovať tak príznaky Gaucherovej choroby typu 1.

## **Ako bol liek Yargesa skúmaný?**

Štúdie o prínosoch a rizikách účinnej látky pri schválenom používaní sa už uskutočnili pri referenčnom lieku Zavesca a nemusia sa opakovať pre liek Yargesa.

Ako pre každý liek, tak aj pre liek Yargesa spoločnosť predložila štúdie o kvalite. Spoločnosť tiež uskutočnila štúdiu, v ktorej sa preukázala biologická rovnocennosť s referenčným liekom. Dva lieky sú biologicky rovnocenné, ak v tele produkujú rovnaké hladiny účinnej látky, a preto sa očakáva, že budú mať rovnaký účinok.

## **Aké sú prínosy a riziká spájané s liekom Yargesa?**

Keďže liek Yargesa je generický liek a je biologicky rovnocenný s referenčným liekom, jeho prínosy a riziká sa považujú za rovnaké ako v prípade referenčného lieku.

## **Prečo bol liek Yargesa povolený?**

Výbor agentúry pre lieky na humánne použitie (CHMP) dospel k záveru, že v súlade s požiadavkami EÚ bola preukázaná porovnateľná kvalita a biologická rovnocennosť lieku Yargesa s liekom Zavesca. Výbor CHMP preto usúdil, že tak, ako v prípade lieku Zavesca, jeho prínos je väčší než identifikované riziká. Výbor odporučil udeliť povolenie na používanie lieku Yargesa v EÚ.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Yargesa?**

Na bezpečné a účinné používanie lieku Yargesa boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

## **Ďalšie informácie o lieku Yargesa**

Úplné znenie správy EPAR o lieku Yargesa sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Yargesa, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Úplné znenie správy EPAR o referenčnom lieku sa takisto nachádza na webovej stránke agentúry.