



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Yargesa

miglustat

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Yargesa. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Yargesa naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Yargesa in za kaj se uporablja?

Zdravilo Yargesa se uporablja za zdravljenje odraslih z blago do zmerno obliko Gaucherjeve bolezni tipa 1.

Bolnikom s to boleznijo primanjkuje encim, ki razgrajuje vrsto maščobe, imenovane glukozilceramid. Glukozilceramid se posledično kopiči v različnih delih telesa, npr. v vranici, jetrih in kosteh. Zdravilo Yargesa se uporablja pri bolnikih, ki ne morejo prejemati encimskega nadomestnega zdravljenja.

Zdravilo Yargesa je „generično zdravilo“. To pomeni, da vsebuje enako zdravilno učinkovino in ima enak način delovanja kot referenčno zdravilo Zavesca, ki je že odobreno v Evropski uniji (EU). Za več informacij o generičnih zdravilih si oglejte dokument z vprašanji in odgovori, ki je na voljo [tukaj](#).

Kako se zdravilo Yargesa uporablja?

Zdravilo Yargesa je na voljo v obliki 100-miligramskih kapsul, ki se jemljejo peroralno. Priporočeni začetni odmerek je ena kapsula trikrat na dan. Pri bolnikih z zmanjšanim delovanjem ledvic in tistih, pri katerih se pojavi driska, je treba uporabiti nižji odmerek.

Predpisovanje in izdaja zdravila Yargesa je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti zdravnik specialist, ki ima izkušnje z zdravljenjem Gaucherjeve bolezni.



Več informacij je na voljo v navodilu za uporabo.

Kako zdravilo Yargesa deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila Yargesa, miglustat, preprečuje delovanje encima, imenovanega glukozilceramid sintaza. Ta encim sodeluje na prvi stopnji tvorbe glukozilceramida. Miglustat lahko s preprečevanjem delovanja encima zmanjša tvorbo glukozilceramida v celicah in s tem zmanjša simptome Gaucherjeve bolezni tipa 1.

Kako je bilo zdravilo Yargesa raziskano?

Študije o koristih in tveganjih zdravilne učinkovine pri dovoljenih uporabah so že bile izvedene z referenčnim zdravilom Zavesca, zato jih ni treba ponoviti za zdravilo Yargesa.

Kot to velja za vsako zdravilo, je družba zagotovila študije o kakovosti zdravila Yargesa. Opravila je tudi študijo, ki je pokazala, da je zdravilo biološko enakovredno referenčnemu zdravilu. Dve zdravili sta biološko enakovredni, kadar dosejata enake ravni zdravilne učinkovine v telesu in imata zato po pričakovanjih enak učinek.

Kakšne so koristi in tveganja, povezani z zdravilom Yargesa?

Ker je zdravilo Yargesa generično zdravilo in je biološko enakovredno referenčnemu zdravilu, so koristi in tveganja enaki kot pri referenčnem zdravilu.

Zakaj je bilo zdravilo Yargesa odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da je bilo v skladu z zahtevami EU dokazano, da ima zdravilo Yargesa primerljivo raven kakovosti kot zdravilo Zavesca ter da mu je biološko enakovredno. Zato je odbor CHMP menil, da njegove koristi enako kot pri zdravilu Zavesca odtehtajo znana tveganja. Priporočil je, da se zdravilo Yargesa odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Yargesa?

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Yargesa upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Yargesa

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Yargesa je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Yargesa preberite navodilo za uporabo (ki je tudi del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za referenčno zdravilo je tudi na voljo na spletni strani agencije.