



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Yargesa

miglustat

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Yargesa. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Yargesa ska användas.

Praktisk information om hur Yargesa ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Yargesa och vad används det för?

Yargesa är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med lindrig till måttlig Gauchers sjukdom typ 1.

Patienter med denna sjukdom saknar ett enzym som bryter ned en typ av fett som kallas glukosylceramid. Det leder till att glukosylceramid ansamlas i olika delar av kroppen, däribland mjälten, levern och skelettet. Yargesa ges till patienter som inte kan få enzymsättningsterapi.

Yargesa är ett generiskt läkemedel, vilket innebär att det innehåller samma aktiva substans (miglustat) och verkar på samma sätt som ett referensläkemedel som redan är godkänt i EU. Referensläkemedlet är Zavesca. Mer information om generiska läkemedel finns i dokumentet med frågor och svar [här](#).

Hur används Yargesa?

Yargesa finns som kapslar på 100 mg som tas genom munnen. Den rekommenderade startdosen är en kapsel tre gånger om dagen. En lägre dos ska ges till patienter med nedsatt njurfunktion och till dem som får diarré.

Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska inledas av läkare med erfarenhet av att behandla Gauchers sjukdom.



Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Yargesa?

Den aktiva substansen i Yargesa, miglustat, hindrar ett enzym som kallas glukosylceramidsyntetas från att verka. Detta enzym medverkar i det första skedet av bildandet av glukosylceramid. Genom att hindra enzymet från att verka kan miglustat minska bildandet av glukosylceramid i cellerna och på så sätt minska symtomen på Gauchers sjukdom typ 1.

Hur har Yargesas effekt undersökts?

Studier av nyttan och riskerna med den aktiva substansen vid den godkända användningen har redan utförts med referensläkemedlet Zavesca och behöver inte utföras på nytt med Yargesa.

Liksom för alla läkemedel lade företaget fram studier av kvaliteten på Yargesa. Företaget genomförde också studier som visade att det är bioekvivalent med referensläkemedlet. Två läkemedel är bioekvivalenta när de bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen. De förväntas därför ha samma effekt.

Vad är nyttan och riskerna med Yargesa?

Eftersom Yargesa är ett generiskt läkemedel och är bioekvivalent med referensläkemedlet anses dess nytta och risker vara desamma som för referensläkemedlet.

Varför godkänns Yargesa?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att det styrkts att Yargesa i enlighet med EU:s krav har likvärdig kvalitet och är bioekvivalent med Zavesca. CHMP fann därför att nyttan är större än de konstaterade riskerna, liksom för Zavesca. Kommittén rekommenderade att Yargesa skulle godkännas för användning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Yargesa?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Yargesa har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Yargesa

EPAR för Yargesa finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Yargesa finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

EPAR för referensläkemedlet finns också i sin helhet på EMA:s webbplats.