



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/307451/2012  
EMA/H/C/000435

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

# Zavesca

## miglustatum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Zavesca. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek pro používání přípravku Zavesca.

### Co je Zavesca?

Zavesca je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku miglustat. Je dostupný ve formě tobolek (100 mg).

### K čemu se přípravek Zavesca používá?

Přípravek Zavesca se používá k léčbě dvou dědičných onemocnění, která ovlivňují způsob, jakým tělo nakládá s tuky. Obě onemocnění způsobují hromadění tukových látek zvaných glykosfingolipidy v těle. Přípravek Zavesca se používá k léčbě těchto pacientů:

- dospělých (ve věku od 18 let) s mírnou až středně závažnou Gaucherovou chorobou typu 1. Pacienti s tímto onemocněním mají nedostatek enzymu zvaného glukocerebrosidáza, což vede k hromadění glykosfingolipidu zvaného glukosylceramid v různých částech těla, např. ve slezině, v játrech nebo kostech. Přípravek Zavesca se používá u pacientů, kteří nemohou být léčeni pomocí standardní substituční enzymové léčby (ERT z angl. enzyme replacement therapy),
- pacientů všech věkových skupin s Niemann-Pickovou chorobou typu C, což je potenciálně smrtelné onemocnění, při kterém se glykosfingolipidy hromadí v mozkových buňkách i jinde v těle. Přípravek Zavesca se používá k léčbě neurologických příznaků nemoci (příznaků ovlivňujících mozek a nervy). Patří mezi ně ztráta koordinace, problémy se „sakádovými“ (kmitavými, rychlými) pohyby oka, jež mohou vést k poruše vidění, opožděný vývoj, obtíže s polykáním, snížené svalové napětí, záchvaty a potíže s učením.



Jelikož počet pacientů s uvedenými onemocněními je nízký, tato onemocnění se považují za zřídka se vyskytující a přípravek Zavesca byl dne 18. října 2000 (v případě Gaucherovy choroby typu 1) a dne 16. února 2006 (v případě Niemann-Pickovy choroby typu C) označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

## **Jak se přípravek Zavesca používá?**

Léčbu přípravkem Zavesca by měli zahájit a monitorovat pouze lékaři, kteří mají zkušenosti s léčbou Gaucherovy choroby nebo Niemann-Pickovy choroby typu C.

Doporučená počáteční dávka v případě léčby Gaucherovy choroby typu 1 je jedna tobolka třikrát denně. U Niemann-Pickovy choroby typu C jsou to dvě tobolky třikrát denně pro pacienty od 12 let věku, přičemž u mladších pacientů dávka závisí na jejich tělesné hmotnosti a výšce. Přípravek Zavesca je určen k dlouhodobému užívání.

U pacientů se sníženou funkcí ledvin by měly být použity nižší dávky. Dávka by také měla být dočasně snížena u pacientů, u kterých se objevil průjem. Další informace jsou uvedeny v souhrnu údajů o přípravku (rovněž součástí zprávy EPAR).

## **Jak přípravek Zavesca působí?**

Léčivá látka v přípravku Zavesca, miglustat, zabraňuje působení enzymu zvanému glukosylceramidsyntáza. Tento enzym se účastní prvního kroku produkce glykosfingolipidů. Zamezením činnosti enzymu je miglustat schopen snižovat tvorbu glykosfingolipidů v buňkách. Tento mechanismus podle všeho zpomaluje výskyt příznaků Gaucherovy choroby typu 1 nebo jejich výskytu zabraňuje a zmírňuje příznaky Niemann-Pickovy choroby typu C.

## **Jak byl přípravek Zavesca zkoumán?**

Co se týče Gaucherovy choroby typu 1, přípravek Zavesca byl zkoumán v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 28 dospělých s mírně nebo středně závažným onemocněním, kteří nemohli nebo nechťeli podstoupit léčbu ERT. Hlavní část studie trvala jeden rok, ale 13 pacientů pokračovalo v užívání přípravku další dva roky. Studie zkoumala vliv přípravku Zavesca na velikost jater a sleziny a na krevní obraz, jako např. hladiny hemoglobinu (bílkoviny, která se nachází v červených krvinkách a rozvádí kyslík do celého těla) a krevních destiček (složek, které napomáhají srážení krve).

Co se týče Niemann-Pickovy choroby typu C, přípravek Zavesca byl zkoumán v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 31 pacientů, z nichž 12 bylo mladších 12 let. Studie porovnávala účinky doplnění přípravku Zavesca ke standardní léčbě s účinky standardní léčby samotné. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna rychlosti sakadických horizontálních pohybů oka u pacientů po jednom roce léčby. Studie se však zaměřila také na další neurologické příznaky, např. schopnost pacientů polykat a jejich intelektové funkce. Někteří pacienti byli léčeni až po dobu 5 a půl let. Společnost předložila také výsledky průzkumu 66 pacientů léčených přípravkem Zavesca.

## **Jaký přínos přípravku Zavesca byl prokázán v průběhu studií?**

Ve studii Gaucherovy choroby typu 1 bylo po jednom roce léčby zaznamenáno mírné zmenšení velikosti jater (o 12 %) a sleziny (o 19 %). Došlo také k mírnému zlepšení krevního obrazu: hladiny hemoglobinu se zvýšily v průměru o 0,26 g na decilitr a počet krevních destiček vzrostl o 8,29 milionů na mililitr. Přínosy přípravku Zavesca byly zachovány v průběhu tří let nepřetržité léčby.

Ve studii Niemann-Pickovy choroby typu C bylo dosaženo podobného zlepšení pohybů oka při užívání přípravku Zavesca i bez něho. U pacientů užívajících přípravek Zavesca však byly patrné známky zlepšení schopnosti polykat a intelektových funkcí. Z průzkumu vyplynulo, že užívání přípravku Zavesca vedlo ke stabilizaci nebo snížení míry zhoršení příznaků u přibližně tří čtvrtin pacientů.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Zavesca?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Zavesca (zaznamenanými u více než 1 pacienta z 10) jsou ztráta tělesné hmotnosti, snížená chuť k jídlu, třes, průjem, nadýmání (plynatost) a bolesti břicha. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Zavesca je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Zavesca nesmějí užívat osoby s precitlivělostí (alergií) na miglustat nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku.

## **Na základě čeho byl přípravek Zavesca schválen?**

Výbor CHMP rozhodl, že přínosy přípravku Zavesca převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Přípravek Zavesca byl původně registrován „za výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze onemocnění bylo v době schvalování k dispozici pouze omezené množství informací. Vzhledem k tomu, že společnost požadované doplňující informace předložila, označení „za výjimečných okolností“ bylo dne 23. srpna 2012 odvoláno.

## **Další informace o přípravku Zavesca:**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Zavesca platné v celé Evropské unii dne 20. listopadu 2002.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Zavesca je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Zavesca naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanovisek k přípravku Zavesca vydaných Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations):

- [Gaucherova choroba](#),
- [Niemann-Pickova choroba typu C](#).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 08-2012.