



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Zavesca

miglustaatti

Tämä on yhteenveto Zavesca-valmistetta koskevasta Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR). Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon sekä suosituksiin Zavescan käytön ehdoista.

Mitä Zavesca on?

Zavesca on lääke, jonka vaikuttava aine on miglustaatti. Sitä saa kapseleina (100 mg).

Mihin Zavescaa käytetään?

Zavescaa käytetään kahden periytyvän kehon rasvankäsittelyyn vaikuttavan taudin hoidossa. Molemmissa taudeissa kehoon kertyy glykosfingolipideiksi kutsuttuja rasva-aineita. Zavescaa käytetään seuraavien potilaiden hoitoon:

- lievistä keskivaikeaa tyyppin 1 Gaucherin tautia sairastavat aikuiset (vähintään 18-vuotiaat). Tätä tautia sairastavilla potilailla ei ole riittävästi glukoserebrosidaasi-nimistä entsyymiä, mikä johtaa glukosyylikeramidi-nimisen glykosfingolipidin kertymiseen kehon eri osiin, kuten pernaan, maksaan ja luihin. Zavescaa annetaan potilaille, joille ei voi antaa tavanomaista entsyymikorvaushoitoa (ERT).
- kaiken ikäiset potilaat, jotka sairastavat tyyppin C Niemann-Pick-tautia, jossa glykosfingolipidit kertyvät aivojen soluihin ja muualle kehoon ja joka voi johtaa kuolemaan. Zavescaa käytetään taudin neurologisten (aivojen ja hermoston) oireiden hoitoon. Näitä ovat koordinoitavuuden menettäminen, sakkadisiin (nopeisiin) silmänliikkeisiin liittyvät ongelmat (jotka voivat johtaa näön heikkenemiseen), viivästynyt kehitys, nielemisvaikeudet, heikentynyt lihasjänteys, kouristukset ja oppimisvaikeudet.

Koska näitä tauteja sairastavien määrä on vähäinen, taudit katsotaan harvinaisiksi. Zavesca nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten tautien hoidossa käytettävä lääke) tyyppin 1 Gaucherin taudin osalta 18. lokakuuta 2000 ja tyyppin C Niemann-Pick-taudin osalta 16. helmikuuta 2006.



Lääkettä saa vain lääkärin määräyksestä.

Miten Zavescaa käytetään?

Zavesca-hoidon saa aloittaa vain Gaucherin taudin tai tyypin C Niemann-Pick-taudin hoidosta kokemusta saanut lääkäri, joka myös valvoo hoitoa.

Suositteltu aloitusannos tyypin 1 Gaucherin tautia sairastaville aikuispotilaille on yksi kapseli kolme kertaa vuorokaudessa. Tyypin C Niemann-Pick-taudissa yli 12 vuotta täyttäneiden potilaiden suositeltu aloitusannos on kaksi kapselia kolme kertaa päivässä; nuoremmilla potilailla annos määräytyy painon ja pituuden mukaan. Zavesca on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

Annosta on pienennettävä potilailla, joilla on munuaisten vajaatoiminta. Potilailla, joilla on ripuli, annosta pienennetään väliaikaisesti. Lisätietoja on valmisteyhteenvedossa (sisältyy myös EPAR-arviointilausuntoon).

Miten Zavesca vaikuttaa?

Miglustaatti, joka on Zavescan vaikuttava aine, estää glukosyylikeramidisyntaasi-nimisen entsyymin toiminnan. Tämä entsyymi on mukana glykosfingolipidien muodostumisen ensimmäisessä vaiheessa. Estämällä entsyymin toiminnan miglustaatti voi vähentää glykosfingolipidien tuotantoa soluissa. Tämän odotetaan hidastavan tai ehkäisevän tyypin 1 Gaucherin taudin oireiden kehittymistä ja vähentävän tyypin C Niemann-Pick-taudin oireita.

Miten Zavescaa on tutkittu?

Zavescan tehoa tutkittiin yhdessä päätutkimuksessa, jossa oli mukana 28 lievää tai keskivaikeaa tyypin 1 Gaucherin tautia sairastavaa potilasta, jotka eivät voineet tai halunneet saada entsyymikorvaushoitoa. Tutkimuksen päävaihe kesti noin vuoden, mutta 13 potilaalle lääkkeen antamista jatkettiin vielä kahden vuoden ajan. Tutkimuksessa tarkasteltiin Zavescan mahdollisia vaikutuksia maksan ja pernan kokoon ja verenkuvaan, kuten hemoglobiiniin (happea kaikkialle kehoon kuljettava punasolujen proteiini) pitoisuuteen ja verihiutaleiden (veren hyytymiseen vaikuttava veren osatekijä) määrään.

Tyypin C Niemann-Pick-taudin osalta Zavescaa tutkittiin yhdessä päätutkimuksessa, jossa oli mukana 31 potilasta, joista 12 oli alle 12 vuoden ikäisiä. Tutkimuksessa Zavescan lisäämistä tavanomaiseen hoitoon verrattiin pelkkään tavanomaiseen hoitoon. Tehon pääasiallisena mittana olivat vuoden hoidon jälkeennuutokset nopeudessa, jolla potilaat tekivät sakkadisia vaakasuoria silmänliikkeitä. Tarkasteltavana oli kuitenkin myös muita neurologisia oireita, kuten potilaiden nielemiskyky ja älyllinen toiminta. Joitakin potilaita hoidettiin jopa 5,5 vuoden ajan. Lääkeyhtiö esitti myös Zavescaa käyttäneille 66 potilaalle tehdyn kyselytutkimuksen tulokset.

Mitä hyötyä Zavescasta on havaittu tutkimuksissa?

Tyypin 1 Gaucherin tautia koskevassa tutkimuksessa todettiin, että vuoden hoidon jälkeen maksan koko oli pienentynyt 12 % ja pernan koko 19 %. Myös veressä oli havaittavissa pieniä parannuksia: hemoglobiinipitoisuus oli noussut keskimäärin 0,26 g/dl ja verihiutaleiden määrä keskimäärin 8,29 miljoonaa millilitraa kohden. Zavescasta saatava hyöty pysyi vakaana kolmen keskeytymättömän hoitovuoden ajan.

Tyypin C Niemann-Pick-tautia koskevassa tutkimuksessa todettiin, että silmänliikkeiden paranemisessa ei ollut eroa Zavescaa saaneiden tai sitä ilman olleiden potilaiden välillä. Nielemiskyvyssä ja älyllisessä toiminnassa oli kuitenkin havaittavissa parannuksia niillä potilailla, jotka käyttivät Zavescaa.

Kyselytutkimuksen tulosten perusteella Zavesca vakautti tai hidasti oireiden pahenemisen nopeutta noin kolmella neljänneksellä potilaista.

Mitä riskejä Zavescaan liittyy?

Zavescan yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin yhdellä potilaalla 10:stä) ovat painon aleneminen, heikentynyt ruokahalu, vapina, ripuli, ilmavaivat ja mahakipu. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Zavescan ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Henkilöt, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) miglustaatille tai jollekin muulle lääkkeen valmistusaineelle, eivät saa käyttää Zavescaa.

Miksi Zavesca on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea katsoi Zavescan hyödyn ylittävän sen riskit ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Zavesca sai alun perin myyntiluvan ns. poikkeuksellisissa olosuhteissa, koska sairauden harvinaisuuden vuoksi siitä oli myöntämishetkellä käytettävissä vain vähän tietoa. Lääkeyhtiön toimitettua pyydetty lisätiedot poikkeuksellisten olosuhteiden katsottiin päättyneen 23. elokuuta 2012.

Muita tietoja Zavescasta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Zavescaa varten 20. marraskuuta 2002.

Zavesca-valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Lisätietoja Zavesca-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Zavescaa käsittelevästä lausunnosta on viraston verkkosivuilla osoitteessa ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations.

- [Gaucherin tauti](#)
- [C -tyypin Niemann-Pick-tauti](#).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 08-2012.