



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Zavesca

miglustats

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par <X>. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *Zavesca* lietošanu.

Kas ir Zavesca?

Zavesca ir zāles, kas satur aktīvo vielu miglustatu. Tās ir pieejamas kā kapsulas (100 mg).

Kāpēc lieto Zavesca?

Zavesca lieto, lai ārstētu divas iedzimtas slimības, kas ietekmē veidu, kādā organisms pārstrādā taukus. Abu slimību rezultātā organismā uzkrājas taukvielas – glikosfingolipīdi. *Zavesca* lieto, lai ārstētu šādus pacientus:

- pieaugušajos (no 18 gadu vecuma) ar vāji līdz vidēji izteiktu 1. tipa Gošē slimību; pacientiem, kas slimo ar šo slimību, trūkst ferments, ko sauc par glikocerebrozidāzi, kā rezultātā dažādās organisma daļās, piemēram, liesā, aknās un kaulos uzkrājas glikosfingolipīds, ko dēvē par glikozilkeramīdu *Zavesca* lieto tādu pacientu ārstēšanai, kam nav piemērota fermentu aizvietošanas standartterapija (ERT);
- visu vecumu pacientus ar Nīmana-Pika (*Niemann-Pick*) C tipa slimību – potenciāli nāvējošu slimību, kuras gadījumā glikosfingolipīdi uzkrājas smadzeņu šūnās un citās organisma daļās; *Zavesca* lieto, lai ārstētu slimības „neiroloģiskos” simptomus (simptomus, kas ietekmē smadzenes un nervus) šie simptomi ietver koordinācijas zudumu, straujas acu kustības, kā rezultātā var rasties bojāta redze, kavēta attīstība, rīšanas grūtības, samazināts muskuļu tonuss, krampji un mācīšanās grūtības;

Tā kā šo slimību pacientu skaits ir mazs, tās uzskata par retām, un 2000. gada 18. oktobrī *Zavesca* apstiprināja kā zāles retu slimību ārstēšanai, proti – 1. tipa Gošē slimības ārstēšanai un 2006. gada 16. februārī – Nīmana-Pika (*Niemann-Pick*) C tipa slimības ārstēšanai.



Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto Zavesca?

Ārstēšana ar *Zavesca* jāsāk un jāuzrauga ārstiem, kam ir pieredze Gošē vai Nīmana-Pika C tipa slimības ārstēšanā.

Ieteicamā sākumdeva 1. tipa Gošē slimības ārstēšanai ir viena iekšķīgi lietojama kapsula trīs reizes dienā. Nīmana-Pika (*Niemann-Pick*) C tipa slimības gadījumā pacientiem no 12 gadu vecuma deva ir divas kapsulas trīs reizes dienā; jaunākiem pacientiem deva ir atkarīga no svara un auguma. *Zavesca* ir paredzēta ilgstošai lietošanai.

Pacientiem ar nieru darbības traucējumiem jālieto mazākas devas. Deva uz laiku jāsamazina arī pacientiem, kuriem ir caureja. Papildu informācija atrodama zāļu aprakstā (kas arī ir daļa no *EPAR*).

Kā Zavesca darbojas?

Zavesca aktīvā viela miglustats kavē fermenta glikozilkeramīdsintāzes darbību. Šis ferments ir iesaistīts glikosfingolipīdu veidošanās pirmajā posmā. Kavējot fermenta darbību, miglustats var mazināt glikosfingolipīdu veidošanos šūnās. Šādi paredzēts palēnināt vai aizkavēt 1. tipa Gošē slimības simptomu attīstību un samazināt Nīmana-Pika (*Niemann-Pick*) C tipa slimības simptomus.

Kā noritēja Zavesca izpēte?

Vāji līdz vidēji izteiktas 1. tipa Gošē slimības gadījumā *Zavesca* efektivitāti pārbaudīja vienā pamatpētījumā, iesaistot 28 pacientus, kas nevarēja vai nevēlējās saņemt *ERT*. Pētījuma galvenā daļa ilga vienu gadu, bet 13 pacienti turpināja saņemt zāles vēl divus gadus. Pētījumā vērtēja, vai *Zavesca* ietekmē aknu un liesas izmērus un vai tās uzlabo asinsķermenīšu skaitu, piemēram, hemoglobīna (sarkanajos asinsķermenīšos esošo olbaltumvielu, kas organismā pārnēsā skābekli) koncentrāciju un trombocītu (asinsķermenīšu, kas veicina asins recēšanu) skaitu.

Nīmana-Pika (*Niemann-Pick*) C tipa slimības gadījumā *Zavesca* efektivitāti pārbaudīja vienā pamatpētījumā, iesaistot 31 pacientu, no kuriem 12 bija jaunāki par 12 gadiem. Pētījumā salīdzināja standarta aprūpes efektivitāti ar *Zavesca* un standarta aprūpes kombinācijas efektivitāti. Galvenais efektivitātes rādītājs bija acu kustināšanas (horizontāli) ātruma izmaiņas pēc gada, bet pētījumā apskatīja arī citus neiroloģiskos simptomus, piemēram, pacientu rīšanas spēju un to garīgās spējas. Dažus pacientus ārstēja līdz pat piecpāris gadiem. Turklāt uzņēmums sniedza rezultātus, kas gūti pētījumā ar 66 pacientiem, kurus ārstēja ar *Zavesca*.

Kādas ir Zavesca priekšrocības šajos pētījumos?

Pētījumā ar 1. tipa Gošē slimību pēc gada bija novērots mērens aknu lieluma (12%) un liesas (19%) samazinājums. Novēroja arī nelielu asinsainas uzlabojumu: vidējais hemoglobīna koncentrācijas pieaugums bija 0,26 g uz decilitru, un trombocītu skaits pieauga par 8,29 miljoniem uz mililitru. Pēc trīs gadu ilgas nepārtrauktas ārstēšanas *Zavesca* sniegtais ieguvums saglabājās.

Nīmana-Pika (*Niemann-Pick*) C tipa slimības pētījumā acu kustību uzlabojumi bija līdzīgi pacientiem, kurus ārstēja ar un bez *Zavesca*. Tomēr ar *Zavesca* ārstētajiem pacientiem uzlabojās rīšanas spēja un garīgās spējas. Apsekojums liecināja, ka *Zavesca* stabilizēja vai samazināja simptomu pasliktināšanās ātrumu apmēram trijām ceturtdaļām pacientu.

Kāds risks pastāv, lietojot Zavesca?

Visbiežāk novērotās *Zavesca* blakusparādības (vairāk kā 1 pacientam no 10) ir svara samazināšanās, samazināta ēstgriba, trīce, caureja, meteorisms (gāzes) un sāpes vēderā. Pilns visu *Zavesca* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Zavesca nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret miglustatu vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu.

Kāpēc Zavesca tika apstiprināta?

CHMP nolēma, ka pacienta ieguvums, lietojot *Zavesca*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt *Zavesca* reģistrācijas apliecību.

Zavesca sākotnēji bija reģistrēta „izņēmuma kārtā”, jo sakarā ar slimību retumu apstiprināšanas brīdī nebija pieejama pilnīga informācija. 2012. gada 23. augustā, kad uzņēmums bija iesniedzis pieprasīto papildu informāciju, „izņēmuma kārtā” tika atcelta.

Cita informācija par Zavesca

Eiropas Komisija 2002. gada 20. novembrī izsniedza *Zavesca* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Zavesca* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Zavesca* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai, sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Zavesca* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations):

- [Gošē slimība](#);
- [Nimana-Pika C tipa slimība](#)

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 08.2012.