



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

ZAVESCA

miglustat

Dan id-dokument huwa sommarju tar-Rapport Pubbliku Ewropew ta' Valutazzjoni (EPAR) għal Zavesca. Dan jispjega kif il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iwwaluta l-mediċina sabiex wasal għall-opinjoni favorevoli tiegħu li tingħata awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq u r-rakkomandazzjonijiet tiegħu dwar il-kondizzjonijiet ta' użu għal Zavesca.

X'inhu Zavesca?

Zavesca huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva miglustat. Jiġi bħala kapsuli (100 mg).

Għalxiex jintuża Zavesca?

Zavesca jintuża għat-trattament ta' żewġ mardiet li jintirtu, li jaffettwaw kif il-ġisem iħaddem ix-xaħam. Iż-żewġ mardiet jikkawżaw li jinġabru sustanzi xaħmija msejja glikosfingolipids fil-ġisem. Zavesca jintuża biex jikkura l-pazjenti li ġejjin:

- adulti (minn 18-il sena 'l fuq) bil-marda Gaucher tat-tip 1 bejn hafifa u moderata. Pazjenti b'din il-marda għandhom nuqqas ta' enzimi msejja glukoċerebrosidażi, li jwassal għal żieda fil-livell ta' sustanza glukosilceramide f'partijiet differenti tal-ġisem, bħall-milsa, il-fwied u l-għadam. Zavesca jintuża fuq pazjenti li ma jistgħux jieħdu t-trattament standard ta' terapija enzimatika sostituttiva (ERT) ;
- pazjenti ta' kull età bil-marda Niemann-Pick tat-tip Ċ, marda potenzjalment fatali li fiha jakkumulaw il-glikosfingolipidi fiċ-ċelloli fil-moħħ u f'partijiet oħra tal-ġisem. Zavesca jintuża sabiex jitratta s-sintomi newroloġiċi tal-marda (sintomi li jaffettwaw il-moħħ u n-nervituri). Dawn jinkludu nuqqas ta' koordinazzjoni, problemi b'movimenti mgħaġġla tal-għajnejn tat-tip 'saccadic' li jistgħu jwasslu għat-telf tal-vista, żvilupp ritardat, problemi biex wiehed jibla', tnaqqis fit-ton tal-muskulatura, attacchi ta' konvulżjoni u problemi fit-tagħlim.



Billi l-għadd ta' pazjenti b'dan il-mard huwa baxx, huma kkunsidrati 'rari', u Zavesca kien ikklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina użata għal mard rari) fit-18 ta' Ottubru 2000 għall-marda Gaucher tat-tip 1 u fis-16 ta' Frar 2006 għall-marda Niemann Pick tat-tip Ċ.

Il-medicina tinkiseb biss b'ricetta ta' tabib.

Kif jintuża Zavesca?

It-trattament b'Zavesca għandu jinbeda u jiġi sorveljat minn tobbja b'esperjenza fit-trattament tal-marda Gaucher jew il-marda Niemann Pick tat-tip Ċ.

Id-doża inizjali rakkomandata għall-marda Gaucher tat-tip 1 hija kapsula orali tliet darbiet kuljum. Għall-marda Niemann-Pick tat-tip Ċ, id-doża hija żewġ kapsuli tliet darbiet kuljum għall-pazjenti ta' 12-il sena jew akbar; f'pazjenti iżgħar, id-doża tiddependi fuq il-piż u t-tul tagħhom. Zavesca huwa intenzjonat għal użu fit-tul.

Għandha tintuża doża aktar baxxa f'pazjenti bi problemi tal-kliwi. Id-doża għandha titnaqqas ukoll temporanjament f'pazjenti li jiżviluppaw id-dijarrea. Għal aktar informazzjoni, ara s-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott (parti wkoll mill-EPAR).

Kif jaħdem Zavesca?

Is-sustanza attiva f'Zavesca, il-miglustast, tipprevjeni enzima msejjha sintaži tal-glukosilċeramide) milli taħdem. Din l-enzima hija involuta fl-ewwel pass fil-produzzjoni tal-glikosfingolipidi. Billi l-miglustast tipprevjenti l-enzima milli taħdem, dan jista' jnaqqas il-produzzjoni tal-glikosfingolipidi fiċ-ċelloli. Dan huwa mistenni li jnaqqas jew jipprevjeni l-iżvilupp tas-sintomi tal-marda Gaucher tat-tip 1 u jitnaqqas s-sintomi tal-marda Niemann Pick tat-tip Ċ.

Kif ġie studjat Zavesca?

Għall-marda Gaucher tat-tip 1, Zavesca ġie investigat fi studju ewlieni li involva 28 adult bil-marda bejn ħafifa u moderata li ma setgħux jew ma ridux jingħataw ERT. Il-parti prinċipali tal-istudju damet sena, iżda 13-il pazjent baqgħu jirċievu l-medicina għal sentejn oħra. L-istudju ħares lejn l-effett ta' Zavesca fuq id-daqs tal-fwied u l-milsa, u fuq il-parametri tad-demmm, bħal-livelli tal-emoglobina (proteina fiċ-ċelloli ħomor tad-demmm li ġgħorr l-ossigħnu mal-ġisem) u l-pjastrini (komponenti li jgħinu d-demmm jagħqad).

Għall-marda Niemann-Pick tat-tip C, Zavesca ġie studjat fi studju ewlieni li involva 31 pazjent, 12 minnhom kellhom anqas minn 12-il sena. L-istudju qabbel il-kura standard mal-effetti taż-żieda ta' Zavesca mal-kura standard. Il-kejl prinċipali tal-effikaċġa kien il-bidla fl-għaġla fil-movimenti tal-għajnejn b'mod orizzontali tat-tip 'saccadic' wara sena, iżda l-istudju ħares ukoll lejn sintomi newroloġiċi oħrajn bħalma huma l-kapaċitajiet tal-pazjenti sabiex jibilgħu u l-funzjoni intellettuali tagħhom. Xi pazjenti ġew ikkurati sa ħames snin u nofs. Il-kumpannija pprezentat ukoll ir-riżultati ta' sħarriġ ta' 66 pazjent ikkurati b'Zavesca.

Liema benefiċċju wera Zavesca matul l-istudji?

Fl-istudju tal-marda Gaucher tat-tip 1, kien hemm tnaqqis moderat fid-daqs tal-fwied (12 % tnaqqis) u tal-milsa (19 % tnaqqis) wara sena. Kien hemm ukoll titjib żgħir fl-għadd komplut tad-demmm: bħala medja, il-livelli tal-emoglobina ždiedu minn 0.26 g kull decilitru u l-għadd ta' pjastrini ždied bi 8.29 miljun kull millilitru. Il-benefiċċji ta' Zavesca nżammu għal tliet snin ta' trattament kontinwu.

Fl-istudju tal-marda Niemann-Pick tat-tip Ċ, it-titjib fil-movimenti tal-għajnejn kien simili fil-pazjenti ttrattati b'Zavesca u mingħajru. Madankollu, kien hemm sinjali ta' titjib fil-kapaċitajiet li wiehed jibla' u fil-funzjoni intellettuali fil-pazjenti ttrattati b'Zavesca. L-istħarriġ wera li Zavesca wassal għal stabilizzazzjoni jew għal tnaqqis fir-rata li biha s-sintomi marru għall-aġħar f'madwar tliet kwarti tal-pazjenti.

X'inhu r-riskju assoċjat ma' Zavesca?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Zavesca (li ntwerew f'iktar minn pazjent wiehed minn kull 10) huma telf fil-piż, nuqqas ta' aptit, roġħda, dijarrea, flatulanza (gass) u wġiġħ addominali (uġiġħ ta' stonku). Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportati b'Zavesca, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Zavesca m'għandux jintuża minn persuni li jkunu ipersensittivi (allergici) għal miglustat jew għal xi sustanza oħra tiegħu.

Għaliex ġie approvat Zavesca?

Is-CHMP iddeċieda li l-benefiċċji ta' Zavesca huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Zavesca kien oriġinarjament awtorizzat f'ċirkostanzi eċċezzjonali', għaliex, minħabba li l-marda hija rari, fi żmien l-approvazzjoni t-tagħrif disponibbli kien limitat. Billi l-kumpanija pprovdiet it-tagħrif addizzjonali mitlub, iċ-ċirkostanzi eċċezzjonali ntemmu fit-23 ta' Awwissu 2012.

Informazzjoni oħra dwar Zavesca:

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fuq is-suq madwar l-Unjoni Ewropea, għal Zavesca fl-20 ta' Novembru 2002.

L-EPAR sħiħ għal Zavesca jinsab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Zavesca, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarji tal-opinjoni jiet tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Zavesca jinsabu fis-sit elettroniku tal-Aġenzija [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations):

- [il-marda Gaucher](#);
- [il-marda Niemann-Pick tip C](#).

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar f'08-2012.