



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Zavesca

miglustat

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Zavesca. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Zavesca.

Ce este Zavesca?

Zavesca este un medicament care conține substanța activă miglustat. Este disponibil sub formă de capsule (100 mg).

Pentru ce se utilizează Zavesca?

Zavesca se utilizează pentru a trata două boli ereditare care afectează modul în care organismul metabolizează grăsimile. Ambele boli cauzează acumularea în organism a substanțelor lipidice numite glicosfingolipide. Zavesca se administrează următoarelor categorii de pacienți:

- adulți (cu vârsta de 18 ani și peste) cu boala Gaucher de tip I ușoară până la moderată. La pacienții cu această boală, lipsa unei enzime numite glucocerebrozidază duce la acumularea unei glicosfingolipide numite glucozilceramidă în diferite părți ale organismului, cum ar fi splina, ficatul și oasele. Zavesca se utilizează la pacienții care nu pot urma tratamentul standard de terapie de substituție enzimatică (TSE);
- pacienți de toate vârstele cu boala Niemann-Pick de tip C, o boală potențial letală, în care glicosfingolipidele se acumulează în celulele creierului și în alte părți ale organismului. Zavesca se utilizează pentru tratarea simptomelor neurologice ale bolii (simptome care afectează creierul și nervii). Acestea includ lipsa coordonării, tulburări ale mișcărilor oculare „sacadate” (rapide) care pot duce la tulburări de vedere, întârzierea dezvoltării, dificultăți de înghițire, scăderea tonusului muscular, convulsii și dificultăți de învățare.



Deoarece numărul pacienților cu aceste boli este scăzut, ele sunt considerate „rare”, iar Zavesca a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rar întâlnite) la 18 octombrie 2000 pentru boala Gaucher de tip I și la 16 februarie 2006 pentru boala Niemann-Pick de tip C.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Zavesca?

Tratamentul cu Zavesca trebuie inițiat și monitorizat de medici cu experiență în abordarea terapeutică a bolii Gaucher sau Niemann-Pick de tip C.

Doza inițială recomandată pentru boala Gaucher de tip I este de o capsulă administrată de trei ori pe zi. Pentru boala Niemann-Pick de tip C, doza recomandată este de două capsule de trei ori pe zi pentru pacienții cu vârsta de 12 ani și peste; la pacienții mai tineri, doza depinde de greutate și înălțime. Zavesca este destinat pentru tratamentul de lungă durată.

La pacienții cu insuficiență renală trebuie utilizată o doză mai redusă. Doza trebuie redusă temporar și la pacienții la care apare diareea. Pentru informații suplimentare, consultați Rezumatul caracteristicilor produsului (care face parte, de asemenea, din EPAR).

Cum acționează Zavesca?

Substanța activă din Zavesca, miglustatul, împiedică activitatea unei enzime numite glucozilceramidă sintază. Această enzimă este implicată în prima etapă a producției de glicosfingolipide. Prin împiedicarea activității enzimei, miglustatul poate reduce producția de glicosfingolipide la nivel celular. Aceasta ar trebui să încetinească sau să împiedice apariția simptomelor bolii Gaucher de tip I și să reducă simptomele bolii Niemann-Pick de tip C.

Cum a fost studiat Zavesca?

Pentru boala Gaucher de tip I, eficacitatea Zavesca a fost evaluată într-un studiu principal care a inclus 28 de adulți care sufereau de această boală sub o formă ușoară până la moderată și cărora nu li se putea administra sau care au refuzat TSE. Partea principală a studiului a durat un an, însă 13 pacienți au primit în continuare medicamentul timp de încă doi ani. Studiul a evaluat efectul pe care Zavesca îl are asupra volumului ficatului și splinei și asupra parametrilor sanguini, precum concentrația de hemoglobină (o proteină care se găsește în globulele roșii și care transportă oxigenul în întregul organism) și numărul trombocitelor (componente care ajută la coagularea sângelui).

Pentru boala Niemann-Pick de tip C, Zavesca a fost evaluat într-un studiu principal care a inclus 31 de pacienți, dintre care 12 aveau vârste sub 12 ani. Studiul a comparat efectele adăugării Zavesca la tratamentul standard cu cele ale tratamentului standard administrat în monoterapie. Principalul indicator al eficacității a fost modificarea vitezei mișcărilor oculare sacadate orizontale ale pacienților după 1 an de tratament, însă studiul a evaluat și alte simptome neurologice, cum ar fi capacitatea pacienților de a înghiți și funcția lor intelectuală. Unii pacienți au urmat tratamentul până la 5 ani și jumătate. De asemenea, compania a prezentat rezultatele unui sondaj pe 66 de pacienți care au fost tratați cu Zavesca.

Ce beneficii a prezentat Zavesca pe parcursul studiilor?

În studiul privind boala Gaucher de tip I, după un an de tratament s-a înregistrat o reducere moderată a volumului ficatului (reducere de 12%) și a splinei (reducere de 19%). S-au înregistrat oarecare îmbunătățiri în ceea ce privește numărul trombocitelor: în medie, concentrația de hemoglobină a

crescut cu 0,26 g pe decilitru, iar numărul trombocitelor a crescut cu 8,29 milioane pe mililitru. Beneficiile Zavesca s-au menținut timp de 3 ani de tratament continuu.

În studiul privind boala Niemann-Pick de tip C, îmbunătățirile privind mișcările oculare au fost asemănătoare la pacienții tratați cu sau fără Zavesca. Cu toate acestea, pacienții tratați cu Zavesca au prezentat semne de îmbunătățire a capacității de a înghiți și a funcției intelectuale. Sondajul a arătat că tratamentul cu Zavesca a dus la o stabilizare sau diminuare a ratei de agravare a simptomelor la aproximativ trei sferturi dintre pacienți.

Care sunt riscurile asociate cu Zavesca?

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Zavesca (observate la mai mult de 1 pacient din 10) sunt scăderea în greutate, scăderea poftei de mâncare, tremorul (tremurăturile), diareea, flatulența (gaze) și durerile abdominale (de burtă). Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Zavesca, consultați prospectul.

Zavesca este contraindicat la persoanele care sunt hipersensibile (alergice) la miglustat sau la oricare dintre celelalte ingrediente.

De ce a fost aprobat Zavesca?

CHMP a hotărât că beneficiile Zavesca sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

Zavesca a fost inițial autorizat în „circumstanțe excepționale” deoarece informațiile puse la dispoziție la momentul aprobării erau limitate. Absența informațiilor se datorează faptului că bolile tratate cu Zavesca sunt rare. Întrucât compania a pus la dispoziție informațiile suplimentare solicitate, „circumstanțele excepționale” au încetat la 23 august 2012.

Alte informații despre Zavesca:

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Zavesca, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 20 noiembrie 2002.

EPAR-ul complet pentru Zavesca este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Zavesca, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Zavesca este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations:

- [Boala Gaucher](#);
- [Boala Niemann Pick de tip C](#).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 08-2012.