



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

# Zavesca

## miglustat

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Zavesca. Det förklarar hur Kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

### Vad är Zavesca?

Zavesca är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen miglustat. Det finns som kapslar (100 mg).

### Vad används Zavesca för?

Zavesca används för att behandla två ärftliga sjukdomar som påverkar kroppens sätt att hantera fett. Båda sjukdomarna leder till att fettämnen som kallas glykosfingolipider inlagras i kroppen. Zavesca ges för att behandla följande patienter:

- Vuxna (18 år och äldre) med mild till måttlig Gauchers sjukdom typ 1. Patienter med denna sjukdom lider brist på ett enzym kallat glukocerebrosidas, vilket leder till att en glykosfingolipid kallad glukosylceramid inlagras i olika delar av kroppen, såsom mjälten, levern och skelettet. Zavesca ges till patienter som inte kan få standardbehandlingen enzymsättningsterapi (ERT).
- Patienter i alla åldrar med Niemann-Picks sjukdom typ C, en potentiellt livshotande sjukdom som innebär att glykosfingolipiderna inlagras i cellerna i hjärnan och på andra ställen i kroppen. Zavesca används för att behandla sjukdomens neurologiska symtom (symtom som drabbar hjärnan och nerverna). Dessa innefattar nedsatt koordinationsförmåga, problem med sackaderade (snabba) ögonrörelser som kan leda till nedsatt syn, försenad utveckling, svårigheter att svälja, minskad muskeltonus, krampanfall och inlärningssvårigheter.



Eftersom antalet patienter med dessa sjukdomar är litet betraktas sjukdomarna som sällsynta. Den 18 oktober 2000 klassificerades Zavesca som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för Gauchers sjukdom typ 1 och den 16 februari 2006 för Niemann-Picks sjukdom typ C.

Läkemedlet är receptbelagt.

## **Hur används Zavesca?**

Behandling med Zavesca ska inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av behandling av Gauchers sjukdom eller Niemann-Picks sjukdom typ C.

Den rekommenderade startdosen för Gauchers sjukdom typ 1 är en kapsel tre gånger om dagen. För Niemann-Picks sjukdom typ C är den två kapslar tre gånger om dagen för patienter som är 12 år och äldre. För yngre patienter beror dosen på deras vikt och längd. Zavesca är avsett för långvarig användning.

En lägre dos ska ges till patienter med nedsatt njurfunktion. Dosen ska också tillfälligt minskas till patienter som får diarré. Mer information finns i produktresumén (ingår också i EPAR).

## **Hur verkar Zavesca?**

Den aktiva substansen i Zavesca, miglustat, hindrar ett enzym som kallas glukosylceramidsyntas från att verka. Detta enzym medverkar i det första skedet av bildandet av glykosfingolipider. Genom att hindra enzymet från att verka kan miglustat minska bildandet av glykosfingolipider i cellerna. Det förväntas att detta fördröjer eller förhindrar utvecklingen av symtomen för Gauchers sjukdom typ 1 och minskar symtomen för Niemann-Picks sjukdom typ C.

## **Hur har Zavesca undersökts?**

Zavesca undersöktes vid Gauchers sjukdom typ 1 i en huvudstudie på 28 vuxna med lindrig till måttlig sjukdom som inte kunde eller inte ville behandlas med enzymsättning. Huvuddelen av studien pågick i ett år, men 13 patienter fortsatte senare behandlingen med läkemedlet i ytterligare två år. I studien undersöktes Zavescas effekt på leverns och mjältens storlek samt på blodbilden, t.ex. koncentrationen av hemoglobin (det protein som finns i röda blodkroppar och som transporterar syre i kroppen) och antalet blodplättar (komponenter som gör att blodet koagulerar).

Vid Niemann-Picks sjukdom typ C undersöktes Zavesca i en huvudstudie på 31 patienter av vilka 12 var under 12 år. I studien jämfördes effekterna av Zavesca som tillägg till standardbehandling med effekterna av enbart standardbehandling. Huvudeffektområdet var förändringen i hur snabbt patienterna gjorde sackaderade horisontella ögonrörelser efter ett år. I studien tittade man dock också på andra neurologiska symtom, t.ex. patienternas förmåga att svälja och deras intellektuella funktioner. Vissa patienter behandlades i upp till fem och ett halvt år. Företaget lade också fram resultaten av en enkät bland 66 patienter som behandlats med Zavesca.

## **Vilken nytta har Zavesca visat vid studierna?**

I studien av Gauchers sjukdom typ 1 uppträdde en måttlig minskning av leverns storlek (12 procents minskning) och av mjältens storlek (19 procents minskning) efter ett år. Blodbilden förbättrades också något: i genomsnitt ökade hemoglobinnivåerna med 0,26 g per deciliter och antalet blodplättar ökade med 8,29 miljoner per milliliter. Fördelarna med Zavesca kvarstod under tre år av kontinuerlig behandling.

I studien av Niemann-Picks sjukdom typ C förbättrades ögonrörelserna i ungefär lika stor utsträckning hos patienter som behandlades med och utan Zavesca. Det fanns dock tecken på förbättring av förmågan att svälja och de intellektuella funktionerna hos patienterna som behandlades med Zavesca. Enkäten visade att Zavesca ledde till en stabilisering eller minskning av den takt i vilken symtomen förvärrades hos ungefär tre fjärdedelar av patienterna.

### **Vilka är riskerna med Zavesca?**

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Zavesca (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är viktnedgång, minskad aptit, tremor (skakningar), diarré, gasbildning och buksmärter (magont). En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Zavesca finns i bipacksedeln.

Zavesca får inte ges till personer som är överkänsliga (allergiska) mot miglustat eller något annat innehållsämne.

### **Varför har Zavesca godkänts?**

CHMP fann att fördelarna med Zavesca är större än riskerna och rekommenderade att Zavesca skulle godkännas för försäljning.

Zavesca godkändes ursprungligen i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta beror på att det endast fanns begränsad information vid tidpunkten för godkännandet eftersom sjukdomarna är sällsynta. Eftersom företaget har redovisat den kompletterande information som begärdes upphörde villkoret "i undantagsfall" att gälla den 23 augusti 2012.

### **Mer information om Zavesca**

Den 20 november 2002 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Zavesca som gäller i hela Europeiska unionen.

Det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Mer information om behandling med Zavesca finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandena om Zavesca från Kommittén för sällsynta sjukdomar finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations):

- [Gauchers sjukdom](#)
- [Niemann-Picks sjukdom typ C](#)

Denna sammanfattning uppdaterades senast 08-2012.