



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/335910/2019
EMEA/H/C/004904

Miglustat Dipharma (miglustaat)

Ülevaade ravimist Miglustat Dipharma ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Miglustat Dipharma ja milleks seda kasutatakse?

Miglustat Dipharmat kasutatakse organismi rasvaainevahetust mõjutava kahe päriliku haiguse raviks. Mõlemad haigused põhjustavad glükosfingolipiidide (teatud rasvained) ladestumist organismis. Miglustat Dipharmat kasutatakse järgmiste patsientide raviks.

- Kerge kuni mõõduka 1. tüüpi Gaucher' tõvega täiskasvanud (vähemalt 18-aastased). Selle haigusega patsientidel puudub ensüüm glükotserebrosidaas, mis põhjustab teatud glükosfingolipiidi – glükosüülteramiidi – ladestumist organismi eri osades, näiteks põrnas, maksas ja luudes. Miglustat Dipharmat kasutatakse patsientidel, kes ei saa kasutada standardset ensüümasendusravi.
- Mis tahes vanuses patsiendid, kellel on C-tüüpi Niemanni-Picki tõbi, mis on potentsiaalselt surmav haigus, mille korral glükosfingolipiidid ladestuvad ajurakkudes ja mujal organismis. Miglustat Dipharmaga ravitakse haiguse neuroloogilisi sümptomeid (aju- ja närvisümptomid). Need on näiteks koordinatsioonikadu, nägemisvaegust põhjustada võivate sakaadiliste (kiirete) silmaliigutustega seotud probleemid, arengupeetus, neelamisraskused, lihastoonuse vähenemine, epilepsiaepisoodid ja õppimisraskused.

Miglustat Dipharma on geneeriline ravim. See tähendab, et Miglustat Dipharma sisaldab sama toimeainet ja toimib samamoodi nagu võrdlusravim Zavesca, millel juba on ELis müügiluba. Lisateave geneeriliste ravimite kohta on teabedokumendis [siin](#).

Kuidas ravimit Miglustat Dipharma kasutatakse?

Ravimit Miglustat Dipharma turustatakse 100 mg suukaudsete kapslitena. Soovitatav algannus 1. tüüpi Gaucher' tõve korral on 1 kapsel 3 korda ööpäevas. C-tüüpi Niemanni-Picki tõve korral on see 2 kapslit 3 korda ööpäevas vähemalt 12-aastastel patsientidel; noorematel patsientidel sõltub annus kehast ja pikkusest. Miglustat Dipharma on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Miglustat Dipharma on retseptiravim. Ravi peab toimuma Gaucher' tõve ravis kogenud arsti järelevalve all.

Lisateavet Miglustat Dipharma kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.

Kuidas Miglustat Dipharma toimib?

Miglustat Dipharma toimeaine miglustaat pärsib ensüümi glükosüültseramiidi süntaasi toimet. See ensüüm osaleb glükosüültseramiidi tekke esimeses etapis. Pärssides ensüümi toimet, vähendab miglustaat glükosüültseramiidi teket rakkudes, vähendades seega 1. tüüpi Gaucher' tõve sümptomeid.

Kuidas ravimit Miglustat Dipharma uuriti?

Võrdlusravimiga Zavesca on juba tehtud toimeaine kasulikkuse ja riski uuringud kasutamisel Gaucher' tõve ravis ning neid ei ole vaja ravimiga Miglustat Dipharma korrata.

Nagu iga ravimi korral, esitas ettevõtte Miglustat Dipharma kvaliteedi uuringud. Ettevõtte tegi ka uuringu, mis näitas, et see on bioekvivalentne võrdlusravimiga. Kaks ravimit on bioekvivalentsed, kui mõlemad ravimid tekitavad organismis sama toimeainesisalduse ja seetõttu on eeldatav toime ühesugune.

Milles seisneb ravimi Miglustat Dipharma kasulikkus ja mis riskid ravimiga kaasnevad?

Et Miglustat Dipharma on geneeriline ravim ja võrdlusravimiga bioekvivalentne, peetakse tema kasulikkust ja riske samadeks mis võrdlusravimil.

ELis ravimile Miglustat Dipharma väljastatud müügiloa põhjendus

Euroopa Raviamet järeldas, et vastavalt Euroopa Liidu nõuetele on tõendatud ravimi Miglustat Dipharma võrreldav kvaliteet ja bioekvivalentsus ravimiga Zavesca. Seetõttu on amet arvamusel, et nagu ka Zavesca korral, ületab Miglustat Dipharma kasulikkus sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada ravimi Miglustat Dipharma ohutu ja efektiivne kasutamine?

Ravimi Miglustat Dipharma ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse ravimi Miglustat Dipharma kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Miglustat Dipharma kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave ravimi Miglustat Dipharma kohta

Miglustat Dipharma on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 18. veebruaril 2019.

Lisateave Miglustat Dipharma kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. Teave võrdlusravimi kohta on samuti Euroopa Raviameti veebilehel.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 06.2019