



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/335911/2019  
EMEA/H/C/004366

## Miglustat Gen.Orph (miglustaat)

Ülevaade ravimist Miglustat Gen.Orph ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

### Mis on Miglustat Gen.Orph ja milleks seda kasutatakse?

Ravimit Miglustat Gen.Orph kasutatakse organismi rasvaainevahetust mõjutava kahe päriliku haiguse raviks. Mõlemad haigused põhjustavad glükosfingolipiidide (teatud rasvained) ladestumist organismis. Ravimit Miglustat Gen.Orph 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. Ravimit Miglustat Gen.Orph 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. Ravimiga Miglustat Gen.Orph ravitakse haiguse neuroloogilisi sümptomeid (aju- ja närvisümptomid). Need on näiteks koordinatsioonikadu, nägemisvaegust põhjustada võivate sakaadiliste (kiirete) silmaliigutustega seotud probleemid, arengupeatus, neelamisraskused, lihastoonuse vähenemine, epilepsiaepisoodid ja õppimisraskused.

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

### Kuidas ravimit Miglustat Gen.Orph kasutatakse?

Ravimit Miglustat Gen.Orph 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 kehamassist ja pikkusest. Miglustat Gen.Orph on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks.

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



Lisateavet ravimi Miglustat Gen.Orph kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

## **Kuidas Miglustat Gen.Orph toimib?**

Ravimi Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph uuriti?**

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

Nagu iga ravimi korral, esitas ettevõtte ravimi Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph kasulikkus ja mis riskid ravimiga kaasnevad?**

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

## **Miks Miglustat Gen.Orph ELis heaks kiideti?**

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

## **Mis meetmed võetakse, et tagada ravimi Miglustat Gen.Orph ohutu ja efektiivne kasutamine?**

Ravimi Miglustat Gen.Orph ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse ravimi Miglustat Gen.Orph kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Ravimi Miglustat Gen.Orph kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

## **Muu teave ravimi Miglustat Gen.Orph kohta**

Miglustat Gen.Orph on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 10. novembril 2017.

Lisateave ravimi Miglustat Gen.Orph kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph). Teave võrdlusravimi kohta on samuti Euroopa Raviameti veebilehel.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 06.2019