

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

Miglustat Dipharma (*miglustaatti*)

Yleistiedot Miglustat Dipharmasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Miglustat Dipharma on ja mihin sitä käytetään?

Miglustat Dipharmaa käytetään kahden sellaisen perinnöllisen sairauden hoitoon, jotka vaikuttavat siihen, miten keho käsittelee rasvoja. Kumpikin sairaus aiheuttaa glykosfingolipideiksi kutsuttujen rasva-aineiden kertymistä kehoon. Miglustat Dipharmaa käytetään seuraavien potilaiden hoitoon:

- aikuiset (18 vuoden ikäiset ja sitä vanhemmat), joilla on lievä tai keskivaikea tyypin 1 Gaucherin tauti. Tästä sairaudesta kärsiviltä potilailta puuttuu entsyymi nimeltä glukoserebrosidaasi, minkä vuoksi heillä kertyy glukosyyliceramidi-nimistä glykosfingolipidiä kehon eri osiin kuten pernaan, maksaan ja luihin. Miglustat Dipharmaa käytetään potilailla, joille ei voida antaa entsyymikorvaushoidon (ERT) vakiohoitoa;
- kaikenikäiset potilaat, joilla on Niemann-Pickin tyypin C tauti. Se on mahdollisesti hengenvaarallinen sairaus, jossa glykosfingolipidejä kertyy soluihin aivoissa ja muualla kehossa. Miglustat Dipharmaa käytetään taudin neurologisten oireiden (aivojen ja hermojen oireiden) hoitoon. Niitä ovat koordinaation menetys, sakkadisten (nopeiden) silmänliikkeiden ongelmat, jotka voivat johtaa näön heikkenemiseen, kehityksen viivästyminen, nielemisvaikeudet, lihasjänteiden väheneminen, kohtaukset ja oppimisvaikeudet.

Miglustat Dipharma on ns. geneerinen lääkevalmiste. Tämä tarkoittaa sitä, että Miglustat Dipharma sisältää samaa vaikuttavaa ainetta ja vaikuttaa samalla tavoin kuin vertailuvalmiste Zavesca, joka on jo saanut myyntiluvan EU:ssa. Lisätietoja geneerisistä lääkkeistä on tässä [kysymyksiä ja vastauksia](#) sisältävässä asiakirjassa.

Miten Miglustat Dipharmaa käytetään?

Miglustat Dipharmaa on saatavana 100 mg:n kapsleina, jotka otetaan suun kautta. Suositeltu aloitusannos tyypin 1 Gaucherin taudin hoidossa on yksi kapseli kolme kertaa vuorokaudessa. Niemann-Pickin tyypin C taudin hoidossa annos on kaksi kapselia kolme kertaa vuorokaudessa vähintään 12 vuoden ikäisillä potilailla, ja nuoremmilla potilailla annos riippuu heidän painostaan ja pituudestaan. Miglustat Dipharma on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

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



Lääkevalmistetta saa vain lääkärin määräyksestä. Hoito on annettava Gaucherin taudin hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Lisätietoja Miglustat Dipharmen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Miglustat Dipharma vaikuttaa?

Miglustat Dipharmen vaikuttava aine miglustaatti estää glukosyylikeramidisyntaasi-nimisen entsyymin toimintaa. Tämä entsyymi on mukana glukosyylikeramidin tuotannon ensimmäisessä vaiheessa. Estämällä entsyymin toimintaa miglustaatti vähentää glukosyylikeramidin tuotantoa soluissa ja vähentää näin myös tyypin 1 Gaucherin taudin oireita.

Miten Miglustat Dipharmaa on tutkittu?

Vertailuvalmiste Zavescalla on jo tehty tutkimuksia vaikuttavan aineen hyödyistä ja riskeistä Gaucherin taudin hoidossa, joten uusia tutkimuksia ei tarvitse tehdä Miglustat Dipharmen osalta.

Kuten kaikkien lääkkeiden osalta tehdään, yhtiö toimitti Miglustat Dipharmen laatua koskevia tutkimuksia. Yhtiö suoritti myös tutkimuksen, joka osoitti, että se on ns. biologisesti samanarvoinen vertailuvalmisteeseen nähden. Kaksi lääkettä ovat biologisesti samanarvoisia, kun ne saavat aikaan saman pitoisuuden vaikuttavaa ainetta elimistössä, ja tällöin niillä odotetaan olevan sama vaikutus.

Mitkä ovat Miglustat Dipharmen hyödyt ja riskit?

Koska Miglustat Dipharma on geneerinen lääkevalmiste ja biologisesti samanarvoinen vertailuvalmisteeseen nähden, sen hyödyn ja riskien katsotaan olevan samat kuin vertailuvalmisteen.

Miksi Miglustat Dipharma on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Miglustat Dipharmen on osoitettu olevan laadultaan vastaava ja biologisesti samanarvoinen Zavescan kanssa Euroopan unionin vaatimusten mukaisesti. Näin ollen virasto katsoi, että Zavescan tavoin Miglustat Dipharmen hyödyt ovat havaittuja riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Miglustat Dipharmen turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksiset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Miglustat Dipharmen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Miglustat Dipharmen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Miglustat Dipharmasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Miglustat Dipharmasta

Miglustat Dipharma sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 18. helmikuuta 2019.

Lisää tietoa Miglustat Dipharmasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. Viraston verkkosivustolla on saatavissa tietoa myös vertailuvalmisteen.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 06-2019.