



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustaatti*)

Yleistiedot Miglustat Gen.Orph -valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Miglustat Gen.Orph on ja mihin sitä käytetään?

Miglustat Gen.Orph -valmistetta käytetään kahden sellaisen perinnöllisen sairauden hoitoon, jotka vaikuttavat siihen, miten keho käsittelee rasvoja. Kumpikin sairaus aiheuttaa glykosfingolipideiksi kutsuttujen rasva-aineiden kertymistä kehoon. Miglustat Gen.Orph -valmistetta 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 Gen.Orphia käytetään potilailla, joille ei voida antaa entsyymikorvaushoidon (ERT) vakiohoitoa;
- kaikenikäiset potilaat, joilla on Niemann-Pickin tyypin C tauti. Tauti, jossa glykosfingolipidejä kertyy soluihin aivoissa ja muualla kehossa, voi olla hengenvaarallinen. Miglustat Gen.Orphia käytetään taudin neurologisten oireiden (aivojen ja hermojen oireiden) hoitoon. Niitä ovat koordinaatiokyvyn menetys, sakkadisten (nopeiden) silmänliikkeiden ongelmat, jotka voivat johtaa näön heikkenemiseen, kehityksen viivästyminen, nielemisvaikeudet, lihasjänteiden väheneminen, kohtaukset ja oppimisvaikeudet.

Miglustat Gen.Orph on ns. geneerinen lääke. Tämä tarkoittaa sitä, että Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orphia käytetään?

Miglustat Gen.Orphia on saatavana 100 mg:n kapseleina, jotka otetaan suun kautta. Suositeltu aloitusannos tyypin 1 Gaucherin taudin hoidossa on yksi kapseli kolme kertaa päivässä. Niemann-Pickin tyypin C taudin hoidossa annos on kaksi kapselia kolme kertaa vuorokaudessa vähintään 12



vuoden ikäisillä potilailla. Sitä nuorempien potilaiden annos riippuu heidän painostaan ja pituudestaan. Miglustat Gen.Orph on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

Lääkevalmistetta saa vain lääkärin määräyksestä. Hoidon tulee tapahtua Gaucherin taudin hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Lisätietoja Miglustat Gen.Orphin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Miglustat Gen.Orph vaikuttaa?

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

Miten Miglustat Gen.Orphia on tutkittu?

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

Kuten muidenkin lääkkeiden osalta, yhtiö toimitti Miglustat Gen.Orphin laatua koskevia tutkimuksia. Yhtiö suoritti myös tutkimuksen, joka osoitti, että se on biologisesti samanarvoinen kuin vertailuvalmiste. Kaksi lääkettä ovat biologisesti samanarvoisia, kun ne saavat aikaan samat vaikuttavan aineen pitoisuudet elimistössä, ja siksi niillä odotetaan olevan sama vaikutus.

Mitkä ovat Miglustat Gen.Orphin hyödyt ja riskit?

Koska Miglustat Gen.Orph on geneerinen lääkevalmiste ja biologisesti samanarvoinen vertailuvalmisteen kanssa, sen hyötyjen ja riskien katsotaan olevan samat kuin vertailuvalmisteen.

Miksi Miglustat Gen.Orph on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Miglustat Gen.Orphin on osoitettu vastaavan laadullisesti Zavescaa ja olevan biologisesti samanarvoinen sen kanssa Euroopan unionin vaatimusten mukaisesti. Näin ollen virasto katsoi, että Zavescan tavoin Miglustat Gen.Orphin hyödyt ovat tunnistettuja riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Miglustat Gen.Orphin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Miglustat Gen.Orphin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

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

Muita tietoja Miglustat Gen.Orphista

Miglustat Gen.Orph sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 10. marraskuuta 2017.

Lisää tietoa Miglustat Gen.Orphista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Viraston verkkosivustolla on saatavissa tietoa myös vertailuvalmisteesta.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 06-2019.