

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

Miglustat Dipharma (*miglustat*)

Pregled informacija o lijeku Miglustat Dipharma i zašto je odobren u EU-u

Što je Miglustat Dipharma i za što se koristi?

Miglustat Dipharma koristi se za liječenje dviju nasljednih bolesti koje utječu na način na koji tijelo prerađuje masti. Obje bolesti uzrokuju nakupljanje masnoća zvanih glikosfingolipidi u tijelu. Miglustat Dipharma primjenjuje se za liječenje sljedećih bolesnika:

- odraslih osoba (u dobi od 18 godina i starijih) s blagim do umjerenim oblikom Gaucherove bolesti tipa 1. Bolesnicima oboljelima od ove bolesti nedostaje enzim glukocerebrosidaza, što dovodi do nakupljanja glikosfingolipida pod nazivom glikozilceramidi u raznim dijelovima tijela poput slezene, jetre i kostiju. Miglustat Dipharma primjenjuje se u bolesnika koji ne mogu primiti standardno liječenje enzimskom nadomjesnom terapijom (ERT);
- u bolesnika svih dobi oboljelih od Niemann-Pickove bolesti tipa C, potencijalno smrtonosne bolesti tijekom koje se glikosfingolipidi nakupljaju u stanicama mozga i u drugim dijelovima tijela. Miglustat Dipharma primjenjuje se za liječenje neuroloških simptoma bolesti (simptoma koji su povezani s mozgom i živcima). To uključuje gubitak koordinacije, probleme u vezi sa „sakadnim“ (brzim) pokretima očiju koji mogu dovesti do oštećenja vida, kašnjenja u razvoju, otežanog gutanja, smanjenog tonusa mišića, napadaja i poteškoća u učenju.

Miglustat Dipharma je „generički lijek“. To znači da Miglustat Dipharma sadrži istu djelatnu tvar i djeluje na jednak način kao i „referentni lijek“ koji je već odobren u EU-u pod nazivom Zavesca. Više informacija o generičkim lijekovima potražite u dokumentu s pitanjima i odgovorima [ovdje](#).

Kako se Miglustat Dipharma primjenjuje?

Lijek Miglustat Dipharma dostupan je u obliku kapsula od 100 mg koje se uzimaju kroz usta. Preporučena početna doza za Gaucherovu bolest tipa 1 je kapsula tri puta dnevno. Za Niemann-Pickovu bolest tipa C doza je dvije kapsule triput dnevno za bolesnike u dobi od 12 godina i starije, a u mlađih bolesnika doza ovisi o tjelesnoj težini i visini. Lijek Miglustat Dipharma namijenjen je za dugoročnu primjenu.

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



Lijek se izdaje samo na recept, a liječenje moraju nadzirati liječnici s iskustvom u liječenju Gaucherove bolesti.

Za više informacija o primjeni lijeka Miglustat Dipharma pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Miglustat Dipharma?

Djelatna tvar u lijeku Miglustat Dipharma, miglustat, sprječava djelovanje enzima naziva glukozilceramid sintaza. Taj enzim uključen je u prvi korak proizvodnje glukozilceramida. Sprječavajući djelovanje enzima, miglustat može smanjiti proizvodnju glukozilceramida u stanicama, čime se ublažavaju simptomi Gaucherove bolesti tipa 1.

Kako je lijek Miglustat Dipharma ispitivan?

Ispitivanja koristi i rizika djelatne tvari u liječenju Gaucherove bolesti već su provedena s referentnim lijekom Zavesca i stoga ih nije potrebno ponavljati za Miglustat Dipharma.

Kao i za svaki lijek, tvrtka je dostavila podatke o ispitivanjima kakvoće za lijek Miglustat Dipharma. Tvrtka je također provela ispitivanje koje je pokazalo da je lijek „bioekvivalentan“ referentnom lijeku. Dva su lijeka bioekvivalentna ako u tijelu proizvode iste razine djelatne tvari i stoga se očekuje da imaju isti učinak.

Koje su koristi i rizici od lijeka Miglustat Dipharma?

Budući da je lijek Miglustat Dipharma generički lijek te da je bioekvivalentan referentnom lijeku, smatra se da su njegove koristi i rizici isti kao i oni referentnog lijeka.

Zašto je lijek Miglustat Dipharma odobren u EU-u?

Europska agencija za lijekove zaključila je kako je, u skladu sa zahtjevima EU-a, utvrđeno da lijek Miglustat Dipharma ima usporedivu kakvoću te da je bioekvivalentan s lijekom Zavesca. Stoga je stav Agencije da korist od lijeka Miglustat Dipharma, kao i od lijeka Zavesca, nadmašuje identificirani rizik te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Miglustat Dipharma?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Miglustat Dipharma nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Miglustat Dipharma kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Miglustat Dipharma pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Miglustat Dipharma

Lijek Miglustat Dipharma dobio je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 18. veljače 2019.

Više informacija o lijeku Miglustat Dipharma dostupno je na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. Informacije o referentnom lijeku također se nalaze na internetskim stranicama Agencije.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 6. 2019.