

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustat*)

Pregled informacija o lijeku Miglustat Gen.Orph i zašto je odobren u EU-u

Što je Miglustat Gen.Orph i za što se koristi?

Miglustat Gen.Orph primjenjuje se za liječenje dvije nasljedne bolesti koje utječu na način prerade masti u organizmu. Obje bolesti uzrokuju nakupljanje masnih tvari naziva glikosfingolipidi u organizmu. Miglustat Gen.Orph koristi se za liječenje sljedećih bolesnika:

- odraslih (u dobi od 18 godina i starijih) s blagom do umjerenom Gaucherovom bolešću tipa 1. Bolesnicima s ovom bolešću nedostaje enzim naziva glukocerebrosidaza, koji rezultira glikosfingolipidom naziva glukozidceramid koji se nakuplja u različitim dijelovima organizma poput slezene, jetre i kostiju. Miglustat Gen.Orph koristi se samo u bolesnika koji ne mogu primiti standardnu enzimsku nadomjesnu terapiju (ERT);
- bolesnika svih dobi s Niemann-Pickovom bolešću tipa C, potencijalno smrtonosnom bolešću pri kojoj se glikosfingolipidi nakupljaju u stanicama mozga i drugdje u organizmu. Miglustat Gen.Orph primjenjuje se za liječenje neuroloških simptoma bolesti (simptoma koji utječu na mozak i živce). 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 pri učenju.

Miglustat Gen.Orph je „generički lijek“. To znači da Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph primjenjuje?

Miglustat Gen.Orph dostupan je u obliku kapsula od 100 mg koje se uzimaju na usta. Preporučena početna doza za Gaucherovu bolest tipa 1 je jedna kapsula triput 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. Miglustat Gen.Orph namijenjen je za dugoročnu primjenu.

Lijek se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje se mora provoditi pod nadzorom liječnika s iskustvom u liječenju Gaucherove bolesti.



Više informacija o primjeni lijeka Miglustat Gen.Orph pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Miglustat Gen.Orph?

Djelatna tvar u lijeku Miglustat Gen.Orph, 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph.

Kao i za svaki lijek, tvrtka je dostavila ispitivanja kakvoće lijeka Miglustat Gen.Orph. 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 lijeka Miglustat Gen.Orph?

Budući da je lijek Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph odobren u EU-u?

Europska agencija za lijekove zaključila je kako je, u skladu sa zahtjevima EU-a, utvrđeno da lijek Miglustat Gen.Orph ima usporedivu kakvoću te da je bioekvivalentan s lijekom Zavesca. Stoga je stav Agencije da korist od lijeka Miglustat Gen.Orph, 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 Gen.Orph?

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

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

Ostale informacije o lijeku Miglustat Gen.Orph

Lijek Miglustat Gen.Orph dobio je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 10. studenoga 2017.

Više informacija o lijeku Miglustat Gen.Orph nalazi se na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Informacije o referentnom lijeku također se nalaze na internetskim stranicama Agencije.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 6. 2019.