

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

Miglustat Gen.Orph (*miglusztát*)

A Miglustat Gen.Orph-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Miglustat Gen.Orph és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Miglustat Gen.Orph-ot a zsírok szervezet általi felhasználását befolyásoló két örökletes betegség kezelésére alkalmazzák. Mindkét betegség a glikoszfinbolipideknek nevezett zsírok felhalmozódását okozza a szervezetben. A Miglustat Gen.Orph-ot a következő betegcsoportok kezelésére alkalmazzák:

- Enyhe vagy közepesen súlyos, 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő felnőttek (18 évesek és idősebbek). Az ebben a betegségben szenvedő betegek szervezetéből hiányzik a glükocerebrozidáz nevű enzim, aminek eredményeként a glükoszilceramid nevű glikoszfinbolipid felhalmozódik a szervezet különböző részeiben, így a lépben, a májban és a csontokban. A Miglustat Gen.Orph-ot olyan betegeknél alkalmazzák, akik nem részesülhetnek standard enzimpótló terápiában.
- C-típusú Niemann–Pick betegségben szenvedő betegeknél, minden életkorban. Ez egy potenciálisan halálos betegség, amelynek során glikoszfinbolipidek halmozódnak fel az agysejtekben és a szervezet más részeiben. A Miglustat Gen.Orph-ot a betegség neurológiai tüneteinek (az agyat és az idegeket érintő tünetek) a kezelésére alkalmazzák. Ezek közé tartozik a koordináció elvesztése, a gyors szemmozgással (REM) kapcsolatos problémák, amelyek látászavart okozhatnak, a fejlődési lemaradás, a nyelési nehézség, a csökkent izomtónus, a görcsrohamok és a tanulási nehézségek.

A Miglustat Gen.Orph „generikus gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy a Miglustat Gen.Orph ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza és ugyanolyan módon hat mint egy, az Európai Unióban (EU) már engedélyezett, Zavesca nevű „referencia-gyógyszer”. A generikus gyógyszerekkel kapcsolatban további információ [ebben](#) a kérdés-válasz dokumentumban található.

Hogyan kell alkalmazni a Miglustat Gen.Orph-ot?

A Miglustat Gen.Orph szájon át szedhető, 100 mg-os kapszulák formájában kapható. 1-es típusú Gaucher-kór esetén a javasolt kezdő adag egy kapszula naponta háromszor. C-típusú Niemann-Pick betegség esetén a javasolt kezdő adag 12 éves és idősebb betegeknél két kapszula naponta

háromszor, fiatalabb betegeknél pedig az adag a testsúlytól és a testmagasságtól függ. A Miglustat Gen.Orph-ot hosszú távú alkalmazásra szánták.

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a Gaucher-kór kezelésében tapasztalt orvosok felügyelete mellett kell végezni.

A Miglustat Gen.Orph alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Miglustat Gen.Orph?

A Miglustat Gen.Orph hatóanyaga, a miglusztát gátolja a glükoszilceramid-szintáznak nevezett enzim működését. Ez az enzim a glükoszilceramid előállításának első fázisában vesz részt. Az enzim működésének gátlásával a miglusztát csökkenti a sejtekben a glükoszilceramid előállítását, enyhítve ezzel az 1-es típusú Gaucher-kór tüneteit.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Miglustat Gen.Orph-ot?

A hatóanyag előnyeire és kockázataira irányuló vizsgálatokat a Gaucher-kór vonatkozásában már elvégezték a referencia-gyógyszerrel, a Zavesca-val, így ezeket a Miglustat Gen.Orph esetében nem szükséges megismételni.

Mint minden gyógyszer esetében, a vállalat a Miglustat Gen.Orph minőségére vonatkozó vizsgálatokat nyújtott be. A vállalat elvégzett egy további vizsgálatot is, amely igazolta a referencia-gyógyszerrel való biológiai egyenértékűséget. Két gyógyszer akkor biológiailag egyenértékű, ha ugyanolyan hatóanyagszintet eredményeznek a szervezetben, így hatásuk várhatóan egyezik.

Milyen előnyökkel és kockázatokkal jár a Miglustat Gen.Orph alkalmazása?

Mivel a Miglustat Gen.Orph generikus gyógyszer és biológiailag egyenértékű a referencia-gyógyszerrel, előnyei és kockázatai azonosnak tekinthetők a referencia-gyógyszer előnyeivel és kockázataival.

Miért engedélyezték a Miglustat Gen.Orph forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az EU követelményeinek megfelelően a Miglustat Gen.Orph minőségi szempontból összehasonlíthatónak és biológiailag egyenértékűnek bizonyult a Zavesca-val. Ezért az Ügynökségnek az volt a véleménye, hogy a Zavesca-hoz hasonlóan a Miglustat Gen.Orph előnyei meghaladják annak azonosított kockázatait, és alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Miglustat Gen.Orph biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Miglustat Gen.Orph biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Miglustat Gen.Orph alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Miglustat Gen.Orph alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Miglustat Gen.Orph-fal kapcsolatos egyéb információ

2017. november 10-én a Miglustat Gen.Orph az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Miglustat Gen.Orph-fal kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. A referencia-gyógyszerre vonatkozó információ szintén megtalálható az Ügynökség weboldalán.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 06-2019.