



EMA/88215/2017
EMEA/H/C/004016

Riassunto destinato al pubblico

Yargesa

miglustat

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Yargesa. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Yargesa.

Per informazioni pratiche sull'uso di Yargesa i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Yargesa?

Yargesa è un medicinale utilizzato per il trattamento della malattia di Gaucher di tipo 1 in adulti con sintomatologia da lieve a moderata.

I pazienti affetti da tale patologia manifestano la carenza di un enzima che degrada un tipo di grasso chiamato glucosilceramide. Di conseguenza, il glucosilceramide si accumula in diverse parti dell'organismo, quali la milza, il fegato e le ossa. Yargesa è usato in pazienti che non possono essere sottoposti alla terapia di sostituzione enzimatica.

Yargesa è un "medicinale generico". Questo significa che contiene lo stesso principio attivo (miglustat) e agisce nello stesso modo di un "medicinale di riferimento" già autorizzato nell'Unione europea (UE), denominato Zavesca. Per maggiori informazioni sui medicinali generici, consultare le domande e le risposte cliccando [qui](#).

Come si usa Yargesa?

Yargesa è disponibile in capsule da 100 mg da assumere per via orale. La dose iniziale raccomandata è di una capsula tre volte al giorno. Nei pazienti con compromissione renale e in quelli che sviluppano diarrea deve essere usata una dose più bassa.



Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere monitorato da medici esperti nella gestione della malattia di Gaucher.

Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Yargesa?

Il principio attivo di Yargesa, miglustat, inibisce l'azione di un enzima denominato glucosilceramide sintetasi. Questo enzima è coinvolto nella prima fase della produzione del glucosilceramide. Impedendo all'enzima di agire, miglustat può ridurre la produzione del glucosilceramide nelle cellule e alleviare in tal modo i sintomi della malattia di Gaucher di tipo 1.

Quali studi sono stati effettuati su Yargesa?

Studi sui benefici e sui rischi del principio attivo per l'uso approvato sono già stati effettuati con il medicinale di riferimento (Zavesca) e non devono pertanto essere ripetuti per Yargesa.

Come per ogni medicinale, la ditta ha messo a disposizione studi sulla qualità di Yargesa. Inoltre, ha effettuato uno studio che ha evidenziato la sua "bioequivalenza" rispetto al medicinale di riferimento. Due medicinali sono bioequivalenti quando producono gli stessi livelli di principio attivo nell'organismo, per cui è atteso che abbiano lo stesso effetto.

Quali sono i benefici e i rischi di Yargesa?

Poiché Yargesa è un medicinale generico ed è bioequivalente al medicinale di riferimento, i suoi benefici e rischi sono considerati uguali a quelli del medicinale di riferimento.

Perché Yargesa è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha concluso che, conformemente ai requisiti dell'UE, Yargesa ha mostrato di possedere qualità comparabili e di essere bioequivalente a Zavesca. Pertanto, il CHMP ha ritenuto che, come nel caso di Zavesca, i benefici siano superiori ai rischi individuati e ha raccomandato di approvare l'uso di Yargesa nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Yargesa?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Yargesa sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Yargesa

Per la versione completa dell'EPAR di Yargesa consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Yargesa, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Anche la versione completa dell'EPAR del medicinale di riferimento si trova sul sito web dell'Agenzia.