



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Dipharma (*miglustatas*)

Miglustat Dipharma apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Miglustat Dipharma ir kam jis vartojamas?

Miglustat Dipharma – tai vaistas, skirtas dviem paveldimoms riebalų apykaitą organizme veikiančioms ligoms gydyti. Abi ligos sukelia riebalų, vadinamų glikosfingolipidais, kaupimąsi organizme. Miglustat Dipharma skiriamas šiems pacientams gydyti:

- lengva ar vidutinio sunkumo 1 tipo *Gaucher* liga sergantiems suaugusiesiems (18 metų ir vyresniems). Šia liga sergantiems pacientams trūksta fermento gliukocerebrozidazės, todėl įvairiuose organuose, pavyzdžiui, blužnyje, kepenyse ir kauluose, pradeda kauptis gliukozilceramidai. Miglustat Dipharma skiriamas pacientams, kuriems negalima taikyti standartinės pakaitinės fermentų terapijos;
- C tipo *Niemann-Pick* liga sergantiems visų amžiaus grupių pacientams; sergant šia galimai mirtina liga galvos smegenų ir kitų organų ląstelėse kaupiasi glikosfingolipidai. Miglustat Dipharma vartojamas neurologiniams ligos simptomams (pažeidžiantiems galvos smegenis ir nervus) slopinti. Šie simptomai – tai, be kita ko, koordinacijos praradimas, sakadiniai (šuliniai) akies judesiai, dėl kurių gali sutrikti regėjimas, vėluojanti raida, negalėjimas ryti, sumažėjęs raumenų tonusas, traukuliai ir mokymosi sunkumai.

Miglustat Dipharma yra generinis vaistas. Tai reiškia, kad Miglustat Dipharma sudėtyje yra tokios pačios veikliosios medžiagos ir ji veikia tokiu pačiu būdu, kaip „referencinis vaistas“ Zavesca, kuris jau registruotas Europos Sąjungoje (ES). Daugiau informacijos apie generinius vaistus rasite klausimų ir atsakymų dokumente [čia](#).

Kaip vartoti Miglustat Dipharma?

Miglustat Dipharma tiekiamas 100 mg geriamųjų kapsulių forma. Rekomenduojama pradinė dozė 1 tipo *Gaucher* ligai gydyti – 1 kapsulė tris kartus per parą. C tipo *Niemann-Pick* ligai gydyti – dvi kapsulės tris kartus per parą vyresniems nei 12 metų amžiaus pacientams. Jaunesniems pacientams dozė nustatoma pagal paciento svorį ir ūgį. Miglustat Dipharma skirtas ilgalaikiam vartojimui.

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



Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi prižiūrėti gydytojai, turintys *Gaucher* ligos gydymo patirties.

Daugiau informacijos apie Miglustat Dipharma vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Miglustat Dipharma?

Veiklioji Miglustat Dipharma medžiaga miglustatas slopina fermentą gliukozilceramido sintazę. Šis fermentas dalyvauja pirmame gliukozilceramido gamybos etape. Neleisdamas šiam fermentui veikti, miglustatas slopina gliukozilceramido gamybą ląstelėse ir taip malšina 1 tipo *Gaucher* ligos simptomus.

Kaip buvo tiriamas Miglustat Dipharma?

Gaucher ligai gydyti vartojamos veikliosios medžiagos naudos ir rizikos santykio tyrimai jau buvo atlikti su referenciniu vaistu Zavesca, todėl su Miglustat Dipharma jų kartoti nereikia.

Kaip ir kiekvienam vaistui, bendrovė pateikė Miglustat Dipharma kokybės tyrimų duomenis. Bendrovė taip pat atliko tyrimą, kuris įrodė, kad šis vaistas yra biologiškai ekvivalentiškas referenciniam vaistui. Du vaistai yra biologiškai ekvivalentiški, kai jie organizme išskiria tiek pat veikliosios medžiagos, todėl jų poveikis turėtų būti toks pat.

Kokia yra Miglustat Dipharma nauda ir rizika?

Kadangi Miglustat Dipharma yra generinis vaistas ir įrodytas jo biologinis ekvivalentiškumas referenciniam vaistui, manoma, kad jo nauda ir rizika yra tokia pat kaip ir referencinio vaisto.

Kodėl Miglustat Dipharma buvo registruotas ES?

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad pagal ES reikalavimus įrodyta, jog Miglustat Dipharma yra panašios kokybės kaip Zavesca ir yra jam biologiškai ekvivalentiškas. Todėl agentūra laikėsi nuomonės, kad, kaip ir Zavesca, Miglustat Dipharma teikiama nauda yra didesnė už nustatytą riziką ir jis gali būti registruotas vartojimui ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Miglustat Dipharma vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Miglustat Dipharma vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Miglustat Dipharma vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Miglustat Dipharma šalutinis poveikis kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Miglustat Dipharma

Miglustat Dipharma buvo registruotas visoje ES 2019 m. vasario 18 d.

Daugiau informacijos apie Miglustat Dipharma rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ziextenzo. Informacijos apie referencinį vaistą taip pat galima rasti Agentūros tinklalapyje.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2019-06.