



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustatas*)

Miglustat Gen.Orph apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Miglustat Gen.Orph ir kam jis vartojamas?

Miglustat Gen.Orph – tai vaistas, skirtas dviem paveldimoms riebalų apykaitą organizme veikiančioms ligoms gydyti. Abi ligos sukelia riebalų, vadinamų gliukosfingolipidais, kaupimąsi organizme. Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 gliukosfingolipidai. Miglustat Gen.Orph vartojamas neurologiniams ligos simptomams (pažeidžiantiems galvos smegenis ir nervus) slopinti. Šie simptomai – tai, be kita ko, koordinacijos praradimas, sakadiniai (staigūs) akies judesiai, dėl kurių gali sutrikti regėjimas, vėluojanti raida, negalėjimas ryti, sumažėjęs raumenų tonusas, traukuliai ir mokymosi sunkumai.

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

Kaip vartoti Miglustat Gen.Orph?

Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph skirtas ilgalaikiam vartojimui.



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

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

Kaip veikia Miglustat Gen.Orph?

Miglustat Gen.Orph veikloji medžiaga miglustatas slopina fermentą gliukozilceramido sintazę. Šis fermentas dalyvauja pirmame gliukozilceramido gamybos etape. Sutrikdydamas šio fermento veiklą, miglustatas slopina gliukozilceramido gamybą ląstelėse ir taip malšina 1 tipo Gaucher ligos simptomus.

Kaip buvo tiriamas Miglustat Gen.Orph?

Gaucher ligai gydyti vartojamos veikliosios medžiagos naudos ir rizikos tyrimai atlikti su referenciniu vaistu Zavesca, todėl jų nereikia kartoti su Miglustat Gen.Orph.

Kaip ir kiekvienam vaistui, bendrovė pateikė Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph nauda ir rizika?

Kadangi Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph buvo registruotas ES?

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

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Miglustat Gen.Orph vartojimą?

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

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

Kita informacija apie Miglustat Gen.Orph

Miglustat Gen.Orph buvo registruotas visoje ES 2017 m. lapkričio 10 d.

Daugiau informacijos apie Miglustat Gen.Orph rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Informacijos apie referencinį vaistą taip pat galima rasti Agentūros tinklalapyje.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2019-06.