



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Dipharma (*miglustats*)

Miglustat Dipharma pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Miglustat Dipharma* un kāpēc tās lieto?

Miglustat Dipharma lieto, lai ārstētu divas iedzimtās slimības, kas ietekmē veidu, kā organisms pārstrādā taukus. Abu slimību dēļ organismā uzkrājas taukainas vielas, ko dēvē par glikosfingolipīdiem. *Miglustat Dipharma* lieto, lai ārstētu šādus pacientus:

- pieaugušos (no 18 gadu vecuma) ar viegli līdz vidēji izteiktu 1. tipa Gošē slimību. Pacienti ar šo slimību trūkst fermenta glikocerebrozidāzes, kā rezultātā glikosfingolipīds, ko dēvē par glikozilceramīdu, uzkrājas dažādās ķermeņa daļās, piemēram, liesā, aknās un kaulos. *Miglustat Dipharma* lieto pacientiem, kuri nevar saņemt standartterapiju fermenta aizstājterapijas (ERT) veidā;
- visu vecumu pacientus ar C tipa Nīmaņa-Pika slimību jeb potenciāli nāvējošu slimību, ar kuru saslimstot, glikosfingolipīdi uzkrājas smadzeņu šūnās vai kādā citā ķermeņa daļā. *Miglustat Dipharma* lieto, lai ārstētu slimības neiroloģiskos simptomus (simptomus, kuri ietekmē smadzenes un nervus). Tie ir koordinācijas zudums, problēmas ar "sakādisko" (ātro) acu kustību, kas var izraisīt redzes traucējumus, palēnināta attīstība, apgrūtināta rīšana, samazināts muskuļu tonuss, krampji un mācīšanās grūtības.

Miglustat Dipharma ir "ģenēriskas zāles". Tas nozīmē, ka *Miglustat Dipharma* satur to pašu aktīvo vielu un ir līdzīgas "atsauces zālēm", kas jau ir reģistrētas Eiropas Savienībā (ES) ar nosaukumu *Zavesca*. Sīkāku informāciju par ģenēriskām zālēm skatīt jautājumu un atbilžu dokumentā [šeit](#).

Kā lieto *Miglustat Dipharma*?

Miglustat Dipharma ir pieejamas kā iekšķīgi lietojamas 100 mg kapsulas. Ieteicamā sākumdeva 1. tipa Gošē slimības gadījumā ir viena kapsula trīsreiz dienā. C tipa Nīmaņa-Pika slimības gadījumā deva ir divas kapsulas trīsreiz dienā pacientiem no 12 gadu vecuma; jaunākiem pacientiem deva ir atkarīga no svara un garuma. *Miglustat Dipharma* ir paredzētas ilgstošai lietošanai.

Zāles var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzrauga ārstiem ar pieredzi Gošē slimības ārstēšanā.

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



Papildu informāciju par *Miglustat Dipharma* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Miglustat Dipharma* darbojas?

Miglustat Dipharma aktīvā viela miglustats bloķē fermentu, ko sauc par glikozilceramīda sintāzi. Šis ferments ir iesaistīts glikozilceramīda sintēzes pirmajā posmā. Novēršot fermenta darbību, miglustats var mazināt glikozilceramīda sintēzi šūnās, tādējādi mazinot 1. tipa Gošē slimības simptomus.

Kā noritēja *Miglustat Dipharma* izpēte?

Pētījumi par aktīvās vielas ieguvumu un risku apstiprinātajā lietošanā jau ir veikti ar atsauces zālēm *Zavesca* un nav jāatkārto ar *Miglustat Dipharma*.

Tāpat kā visām zālēm, uzņēmums iesniedza pētījumus par *Miglustat Dipharma* kvalitāti. Uzņēmums veica arī pētījumu, kas apliecināja to "bioekvivalenci" atsauces zālēm. Divas zāles ir bioekvivalentas, ja tās nodrošina vienādu aktīvās vielas līmeni organismā un līdz ar to ir sagaidāma vienāda to iedarbība.

Kāda ir *Miglustat Dipharma* ieguvuma un riska attiecība?

Tā kā *Miglustat Dipharma* ir ģenēriskas zāles un bioekvivalentas atsauces zālēm, to ieguvumu un riska attiecību uzskata par līdzvērtīgu atsauces zāļu ieguvumu un riska attiecībai.

Kāpēc *Miglustat Dipharma* ir reģistrētas ES?

Eiropas Zāļu aģentūra secināja, ka saskaņā ar ES prasībām *Miglustat Dipharma* ir pierādīta salīdzināma kvalitāte un bioekvivalence ar *Zavesca*. Tāpēc aģentūra uzskatīja, ka, tāpat kā *Zavesca* gadījumā, *Miglustat Dipharma* ieguvums pārsniedz identificēto risku un tās var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Miglustat Dipharma* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Miglustat Dipharma* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Miglustat Dipharma* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Miglustat Dipharma* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Miglustat Dipharma*

Miglustat Dipharma 2019. gada 18. februārī saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Miglustat Dipharma* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. Aģentūras tīmekļa vietnē ir atrodama arī informācija par atsauces zālēm.

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2019. gada jūnijā.