



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustats*)

Miglustat Gen.Orph pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Miglustat Gen.Orph* un kāpēc tās lieto?

Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph* 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 Gen.Orph* 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 Gen.Orph* 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 Gen.Orph ir "ģenēriskas zāles". Tas nozīmē, ka *Miglustat Gen.Orph* 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 Gen.Orph*?

Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph* ir paredzētas ilgstošai lietošanai.

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



Papildu informāciju par Miglustat Gen.Orph lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā Miglustat Gen.Orph darbojas?

Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph izpēte?

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

Tāpat kā visām zālēm, uzņēmums iesniedza pētījumus par Miglustat Gen.Orph 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 tām ir sagaidāma vienāda iedarbība.

Kāda ir Miglustat Gen.Orph ieguvuma un riska attiecība?

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

Kāpēc Miglustat Gen.Orph ir reģistrētas ES?

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

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph lietošanu.

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

Cita informācija par Miglustat Gen.Orph

Miglustat Gen.Orph 2017. gada 10. novembrī saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par Miglustat Gen.Orph ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Aģentūras tīmekļa vietnē ir atrodama arī informācija par atsauces zālēm.

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2019. gada jūnijā.