



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustat*)

Ħarsa ġenerali lejn Miglustat Gen.Orph u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Miglustat Gen.Orph u għal xiex jintuża?

Miglustat Gen.Orph jintuża biex jikkura żewġ mardiet li jintirtu li jaffettwaw il-mod li bih il-ġisem jittratta x-xaħmijiet. Iż-żewġ mardiet jikkawżaw akkumulu ta' sustanzi xaħmin li jissejġu glikosfingolipidi fil-ġisem. Miglustat Gen.Orph jintuża fil-kura tal-pazjenti li ġejjin:

- adulti (minn 18-il sena 'l fuq) b'marda ta' Gaucher tat-tip 1 minn ħafifa sa moderata.

Pazjenti b'din il-marda m'għandhomx enzima msejġha glukocerebrosidażi, li tirriżulta fi glikosfingolipid li jissejjaħ glukozilċeramid li jiżviluppa f'partijiet differenti tal-ġisem, bħall-milsa, fwied u għadam. Miglustat Gen.Orph jintuża f'pazjenti li ma jistgħux jirċievu l-kura standard tat-terapija ta' sostituzzjoni tal-enzima (ERT);

- pazjenti ta' kull età bil-marda ta' Niemann-Pick tat-tip Ċ, marda potenzjalment fatali fejn l-glikosfingolipidi jiżviluppaw fiċ-ċelloli tal-moħħ u xi mkien ieħor fil-ġisem. Miglustat Gen.Orph jintuża fil-kura tas-sintomi newroloġiċi tal-marda (sintomi li jaffettwaw il-moħħ u n-nervituri). Dawn jinkludu telf ta' koordinazzjoni, problemi b'movimenti fl-għajnejn "rapidi" (rapidi) li jstgħu jwasslu għal vista batuta, żvilupp ittardjat, diffikultà biex tibla', tnaqqis fl-issodar tal-muskoli, aċċessi u diffikultajiet ta' tagħlim.

Miglustat Gen.Orph huwa 'medicina ġenerika'. Dan ifisser li Miglustat Gen.Orph fih l-istess sustanza attiva u jaħdem bl-istess mod bħal 'medicina ta' referenza' diġà awtorizzata fl-UE msejġha Zavesca. Għal aktar informazzjoni dwar il-medicini ġeneriċi, ara d-dokument bil-mistoqsijiet u t-tweġibiet [hawnhekk](#).

Kif jintuża Miglustat Gen.Orph?

Miglustat Gen.Orph jiġi bħala kapsuli ta' 100 mg li għandhom jittieħdu mill-ħalq. Id-doża rakkomandata tal-bidu għall-marda ta' Gaucher tat-tip-1 hija kapsula waħda tliet darbiet kuljum. Għall-marda ta' Niemann-Pick tat-tip Ċ, din hija żewġ kapsuli tliet darbiet kuljum għal pazjenti minn 12-il sena 'l fuq; f'pazjent iżgħar, id-doża tiddependi mill-piż u t-tul tagħhom Miglustat Gen.Orph huwa maħsub għal użu fit-tul.



Il-medicina tista' tinkiseb biss b'ricetta ta' tabib u l-kura għandha tkun sorveljata minn tobbi li għandhom esperjenza fil-ġestjoni tal-marda ta' Gaucher.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Miglustat Gen.Orph, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Miglustat Gen.Orph?

Is-sustanza attiva f'Miglustat Gen.Orph, il-miglustat, timblokka enzima msejha sintazi tal-glukożilceramid. Din l-enzima hija involuta fl-ewwel pass tal-produzzjoni tal-glukożilceramid. Meta tipprevjeni lill-enzima milli taħdem, il-miglustat tista' tnaqqas il-produzzjoni tal-glukożilceramid fiċ-ċelloli, b'hekk jitnaqqsu s-sintomi tal-marda ta' Gaucher tat-tip 1.

Kif ġie studjat Miglustat Gen.Orph?

Diġà saru studji dwar il-benefiċċji u r-riskji tas-sustanza attiva fil-marda ta' Gaucher bil-medicina ta' referenza, Zavesca, u ma għandhomx għalfejn jiġu ripetuti għal Miglustat Gen.Orph.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, il-kumpanija pprovdiet studji dwar il-kwalità ta' Miglustat Gen.Orph. Il-kumpanija wettqet ukoll studju li wera li huwa "bijoekwivalenti" għall-medicina ta' referenza. Żewġ medicini jkunu bijoekwivalenti meta jipproduċu l-istess livelli tas-sustanza attiva fil-ġisem u għaldaqstant ikunu mistennija li jkollhom l-istess effett.

X'inhuma l-benefiċċji u r-riskji ta' Miglustat Gen.Orph?

Minhabba li Miglustat Gen.Orph huwa medicina ġenerika u huwa bijoekwivalenti għall-medicina ta' referenza, il-benefiċċji u r-riskji tiegħu jitqiesu l-istess bħal dawk tal-medicina ta' referenza.

Għaliex Miglustat Gen.Orph ġie awtorizzat fl-UE?

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini kkonkludiet li, b'mod konformi mar-rekwiżiti tal-UE, Miglustat Gen.Orph wera li għandu kwalità komparabbli u huwa bijoekwivalenti għal Zavesca. Għaldaqstant, l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li, bħal fil-każ ta' Zavesca, il-benefiċċju ta' Miglustat Gen.Orph huwa akbar mir-riskju identifikat u jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'mizuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Miglustat Gen.Orph?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Miglustat Gen.Orph.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-data dwar l-użu ta' Miglustat Gen.Orph hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Miglustat Gen.Orph huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tippoteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Miglustat Gen.Orph

Miglustat Dipharma ngħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fl-10 ta' Novembru 2017.

Aktar informazzjoni dwar Miglustat Gen.Orph tinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Informazzjoni dwar il-medicina ta' referenza tinstab ukoll fis-sit elettroniku tal-Aġenzija.

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'06-2019.