

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

## Miglustat Dipharma (*miglustat*)

Przegląd wiedzy na temat leku Miglustat Dipharma i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Czym jest lek Miglustat Dipharma i w jakim celu się go stosuje

Miglustat Dipharma jest lekiem stosowanym w leczeniu dwóch chorób dziedzicznych dotyczących gospodarki tłuszczowej organizmu. Obie choroby powodują odkładanie się substancji tłuszczowych zwanych glikosfingolipidami. Miglustat Dipharma stosuje się u następujących pacjentów:

- osoby dorosłe (w wieku od 18 lat) z chorobą Gauchera typu -1 o łagodnym lub średnim nasileniu. U pacjentów z tą chorobą brakuje enzymu o nazwie glukocerebrozydaza, co powoduje odkładanie się glikosfingolipidu zwanego glukozylceramidem w różnych częściach organizmu, takich jak śledziona, wątroba i kości. Miglustat Dipharma stosuje się u pacjentów, którzy nie mogą otrzymywać standardowego leczenia, czyli enzymatycznej terapii zastępczej (ETZ);
- pacjenci w każdym wieku z chorobą Niemann-Picka typu C, potencjalnie śmiertelną chorobą, w której glikosfingolipidy odkładają się w komórkach mózgu i w całym organizmie. Miglustat Dipharma stosuje się w leczeniu objawów neurologicznych choroby (objawy dotyczące mózgu i nerwów), w tym utraty koordynacji, problemów z „sakadycznymi” (szybkimi) ruchami gałki ocznej, które mogą prowadzić do zaburzeń widzenia, opóźnionego rozwoju, trudności z przełykaniem, zmniejszonego napięcia mięśni, drgawek i trudności z nauką.

Miglustat Dipharma jest lekiem generycznym. Oznacza to, że Miglustat Dipharma zawiera tę samą substancję czynną oraz działa w ten sam sposób co „lek referencyjny” o nazwie Zavesca, który jest już dopuszczony do obrotu w UE. Więcej informacji na temat leków generycznych znajduje się w dokumencie z pytaniami i odpowiedziami [tutaj](#).

### Jak stosować lek Miglustat Dipharma

Lek Miglustat Dipharma jest dostępny w postaci kapsułek 100 mg do podawania doustnego. Zalecana dawka początkowa w chorobie Gauchera typu -1 wynosi jedną kapsułkę trzy razy na dobę. W chorobie Niemann-Picka typu C dawka ta wynosi dwie kapsułki trzy razy na dobę u pacjentów w wieku co

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



najmniej 12 lat; dawka u młodszych pacjentów zależy od ich masy ciała i wzrostu. Lek Miglustat Dipharma jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno odbywać się pod nadzorem lekarza z doświadczeniem w leczeniu choroby Gauchera.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Miglustat Dipharma znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

## **Jak działa lek Miglustat Dipharma**

Substancja czynna leku Miglustat Dipharma, miglustat, blokuje enzym o nazwie syntaza glukozyloceramidu. Enzym ten bierze udział w pierwszym etapie wytwarzania glukozyloceramidu. Zapobiegając działaniu tego enzymu, miglustat może ograniczyć wytwarzanie glukozyloceramidu w komórkach, i w ten sposób ograniczyć objawy choroby Gauchera typu I.

## **Jak badano lek Miglustat Dipharma**

Badania dotyczące korzyści i ryzyka stosowania substancji czynnej w chorobie Gauchera przeprowadzono już z lekiem referencyjnym Zavesca i nie ma potrzeby ich powtarzać dla leku Miglustat Dipharma.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, firma przedstawiła badania jakości leku Miglustat Dipharma. Firma przeprowadziła również badanie wykazujące, że jest to lek „biorównoważny” z lekiem referencyjnym. Dwa leki są wtedy biorównoważne, kiedy osiągają takie same stężenia substancji czynnej w organizmie i dlatego spodziewane jest takie samo działanie leków.

## **Korzyści i ryzyko związane ze stosowaniem leku Miglustat Dipharma**

Ponieważ lek Miglustat Dipharma jest lekiem generycznym, biorównoważnym w stosunku do leku referencyjnego, uznaje się, że z jego stosowaniem wiążą się takie same korzyści i ryzyko, jak w przypadku leku referencyjnego.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Miglustat Dipharma w UE**

Europejska Agencja Leków uznała, że – zgodnie z wymogami UE – wykazano, że lek Miglustat Dipharma charakteryzuje się porównywalną jakością i jest biorównoważny w stosunku do leku Zavesca. Dlatego też Agencja wyraziła opinię, że – podobnie jak w przypadku leku Zavesca – korzyści ze stosowania leku Miglustat Dipharma przewyższają rozpoznane ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Miglustat Dipharma**

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Miglustat Dipharma w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Miglustat Dipharma są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Miglustat Dipharma są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące leku Miglustat Dipharma**

W dniu 18 lutego 2019 r. Miglustat Dipharma otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej Unii Europejskiej.

Dalsze informacje na temat leku Miglustat Dipharma znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma). Informacje dotyczące leku referencyjnego również znajdują się na stronie internetowej Agencji.

Data ostatniej aktualizacji: 06.2019.