



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustat*)

Przegląd wiedzy na temat leku Miglustat Gen.Orph i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Miglustat Gen.Orph i w jakim celu się go stosuje

Miglustat Gen.Orph stosuje się w leczeniu dwóch chorób dziedzicznych wpływających na gospodarkę tłuszczową organizmu. W obu chorobach dochodzi do odkładania się w organizmie substancji tłuszczowych zwanych glikosfingolipidami. Miglustat Gen.Orph stosuje się w leczeniu następujących pacjentów:

- osób dorosłych (w wieku od 18 lat) z łagodną i umiarkowaną chorobą Gauchera typu 1. U pacjentów z tą chorobą występuje brak enzymu o nazwie glukocerebrozydaza, co powoduje odkładanie się glikosfingolipidu zwanego glukozylceramidem w różnych częściach organizmu, takich jak śledziona, wątroba i kości. Miglustat Gen.Orph stosuje się u pacjentów, którzy nie mogą otrzymywać standardowego leczenia, czyli enzymatycznej terapii zastępczej (ETZ);
- pacjentów 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph jest lekiem generycznym. Oznacza to, że Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph

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



najmniej 12 lat; u młodszych pacjentów dawka zależy od ich masy ciała i wzrostu. Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Miglustat Gen.Orph

Substancja czynna leku Miglustat Gen.Orph, 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 złagodzić objawy choroby Gauchera typu I.

Jak badano lek Miglustat Gen.Orph

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 Gen.Orph.

Tak jak w przypadku wszystkich leków firma przekazała badania jakości leku Miglustat Gen.Orph. 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 Gen.Orph

Ponieważ lek Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph w UE

Europejska Agencja Leków uznała, że – zgodnie z wymogami UE – wykazano, że lek Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph przewyższają rozpoznane ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Miglustat Gen.Orph

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Miglustat Gen.Orph są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Miglustat Gen.Orph

W dniu 10 listopada 2017 r. lek Miglustat Gen.Orph otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej Unii Europejskiej.

Dalsze informacje na temat leku Miglustat Gen.Orph znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Informacje dotyczące leku referencyjnego również znajdują się na stronie internetowej Agencji.

Data ostatniej aktualizacji: 06.2019.