



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Dipharma (*miglustat*)

Všeobecný prehľad o lieku Miglustat Dipharma a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Miglustat Dipharma a na čo sa používa?

Liek Miglustat Dipharma sa používa na liečbu dvoch dedičných chorôb, ktoré vplyvajú na spôsob, akým telo spracúva tuky. Obe choroby vedú k hromadeniu tukových látok v tele, ktoré sa nazývajú glykosfingolipidy. Liek Miglustat Dipharma sa používa na liečbu týchto pacientov:

- dospelých (vo veku 18 rokov a starších) s miernou až stredne závažnou Gaucherovou chorobou typu 1. Pacientom s touto chorobou chýba enzým nazývaný glukocerebrozidáza, čo vedie k hromadeniu glykosfingolipidu nazývaného glukozylceramid v rôznych častiach tela, ako je napríklad slezina, pečeň alebo kosti. Liek Miglustat Dipharma sa používa u pacientov, ktorí nemôžu dostávať štandardnú liečbu formou substitučnej enzýmovej terapie (ERT),
- pacientov všetkých vekových skupín s Niemannovou-Pickovou chorobou typu C, ktorá môže mať smrteľné následky, keďže sa pri nej glykosfingolipidy hromadia v mozgových bunkách a kdekoľvek inde v tele. Liek Miglustat Dipharma sa používa na liečbu neurologických symptómov ochorenia (symptómov postihujúcich mozog a nervy). Patria medzi ne strata koordinácie, problémy s kmitavými (rýchlymi) pohybmi oka, ktoré môžu viesť k poruchám zraku, oneskoreniu vo vývoji, ťažkostiam s prehítaním, zníženému napätiu svalov, záchvatom a ťažkostiam s učením.

Liek Miglustat Dipharma je tzv. generický liek. To znamená, že liek Miglustat Dipharma obsahuje rovnaké liečivo a pôsobí rovnakým spôsobom ako tzv. referenčný liek, ktorý je už v Európskej únii (EÚ) povolený pod názvom Zavesca. Viac informácií o generických liekoch sa nachádza v dokumente s otázkami a odpoveďami [tu](#).

Ako sa liek Miglustat Dipharma používa?

Liek Miglustat Dipharma je dostupný vo forme 100 mg kapsúl, ktoré sa užívajú ústami. Odporúčaná úvodná dávka pri Gaucherovej chorobe typu 1 je jedna kapsula užívaná trikrát denne. Pri Niemannovej-Pickovej chorobe typu C sa odporúčajú dve kapsuly trikrát denne pre pacientov vo veku 12 rokov a starších. Pre mladších pacientov dávka závisí od hmotnosti a výšky. Liek Miglustat Dipharma je určený na dlhodobé používanie.

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



Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou Gaucherovej choroby.

Viac informácií o používaní lieku Miglustat Dipharma si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Miglustat Dipharma účinkuje?

Liečivo lieku Miglustat Dipharma, miglustat, bráni pôsobeniu enzýmu nazývaného glukozylceramidsyntáza. Tento enzým sa podieľa na prvej fáze produkcie glukozylceramidu. Tým, že bráni pôsobeniu enzýmu, môže miglustat znižovať tvorbu glykozylceramidu v bunkách a zmierňovať tak príznaky Gaucherovej choroby typu 1.

Ako bol liek Miglustat Dipharma skúmaný?

Štúdie, v ktorých sa skúmajú prínosy a riziká liečiva pri Gaucherovej chorobe sa už uskutočnili pri referenčnom lieku Zavesca a nemusia sa opakovať pre liek Miglustat Dipharma.

Ako pre každý liek, aj pre liek Miglustat Dipharma, spoločnosť predložila štúdie o kvalite. Spoločnosť takisto uskutočnila štúdiu, v ktorej sa preukázala tzv. biologická rovnocennosť lieku s referenčným liekom. Dva lieky sú biologicky rovnocenné, ak v tele produkujú rovnaké hladiny liečiva, a preto sa očakáva, že budú mať rovnaký účinok.

Aké sú prínosy a riziká spájané s liekom Miglustat Dipharma?

Keďže liek Miglustat Dipharma je generický liek a je biologicky rovnocenný s referenčným liekom, jeho prínosy a riziká sa považujú za rovnaké ako v prípade referenčného lieku.

Prečo bol liek Miglustat Dipharma povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky dospela k záveru, že v súlade s požiadavkami EÚ bola preukázaná porovnateľná kvalita a biologická rovnocennosť lieku Miglustat Dipharma s liekom Zavesca. Agentúra preto usúdila, že tak, ako v prípade lieku Zavesca, prínos lieku Miglustat Dipharma je väčší než identifikované riziká a môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Miglustat Dipharma?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Miglustat Dipharma boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Miglustat Dipharma sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Miglustat Dipharma sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Miglustat Dipharma

Lieku Miglustat Dipharma bolo dňa 18. februára 2019 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Miglustat Dipharma sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fulphila. Informácie o referenčnom lieku sa takisto nachádzajú na webovej stránke agentúry.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 06-2019