



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Dipharma (*miglustat*)

Pregled zdravila Miglustat Dipharma in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Miglustat Dipharma in za kaj se uporablja?

Zdravilo Miglustat Dipharma se uporablja za zdravljenje dveh dednih bolezni, ki vplivata na način presnove maščob v telesu. Obe bolezni povzročata kopičenje maščobnih snovi, imenovanih glikosfingolipidi, v telesu. Zdravilo Miglustat Dipharma se uporablja za zdravljenje naslednjih bolnikov:

- odraslih (starejših od 18 let) z blago do zmerno obliko Gaucherjeve bolezni tipa-1. Bolnikom s to boleznijo primanjkuje encima, imenovanega glukocerebrozidaza, zaradi česar se glikosfingolipid, imenovan glukozilceramid, kopiči v različnih delih telesa, kot so vranica, jetra in kosti. Zdravilo Miglustat Dipharma se uporablja pri bolnikih, ki ne morejo prejemati običajnega encimskega nadomestnega zdravljenja (ERT);
- bolnikov vseh starosti z Niemann-Pickovo boleznijo tipa-C, ki je lahko smrtna in pri kateri se glikosfingolipidi kopičijo v celicah v možganih in drugod v telesu. Zdravilo Miglustat Dipharma se uporablja za zdravljenje nevroloških simptomov bolezni (simptomov, ki prizadenejo možgane in živce). Med njimi so izguba koordinacije, težave s „sakadnim“ (hitrim) gibanjem oči, ki lahko vodi v motnje vida, zapoznel razvoj, težave pri požiranju, zmanjšan mišični tonus, epileptični napadi in učne težave.

Zdravilo Miglustat Dipharma je „generično zdravilo“. To pomeni, da vsebuje enako učinkovino in deluje na enak način kot „referenčno zdravilo“, ki je že odobreno v EU in se imenuje Zavesca. Za več informacij o generičnih zdravilih si oglejte dokument z vprašanji in odgovori, ki je na voljo [tukaj](#).

Kako se zdravilo Miglustat Dipharma uporablja?

Zdravilo Miglustat Dipharma je na voljo v obliki 100-miligramskih kapsul, ki se jemljejo peroralno. Priporočeni začetni odmerek za Gaucherjevo bolezen tipa-1 je ena kapsula trikrat na dan. Priporočeni začetni odmerek za Niemann-Pickovo boleznijo tipa-C sta dve kapsuli trikrat na dan za bolnike, starejše od 12 let; odmerek pri mlajših bolnikih je odvisen od njihove telesne mase in višine. Zdravilo Miglustat Dipharma je namenjeno za dolgotrajno uporabo.

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



Predpisovanje in izdaja zdravila Miglustat Dipharma je le na recept, zdravljenje z njim pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z Gaucherjevo boleznijo.

Za več informacij o uporabi zdravila Miglustat Dipharma glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Miglustat Dipharma deluje?

Učinkovina zdravila Miglustat Dipharma, miglustat, preprečuje delovanje encima, imenovanega glukozilceramidsintaza. Ta encim sodeluje na prvi stopnji tvorbe glukozilceramida. Miglustat lahko s preprečevanjem delovanja encima zmanjša tvorbo glukozilceramida v celicah in s tem zmanjša simptome Gaucherjeve bolezni tipa-1.

Kako je bilo zdravilo Miglustat Dipharma raziskano?

Študije o koristih in tveganjih učinkovine pri Gaucherjevi bolezni so že bile izvedene z referenčnim zdravilom Zavesca, zato jih ni treba ponoviti za zdravilo Miglustat Dipharma.

Tako kot za vsako zdravilo, je podjetje predložilo študije o kakovosti zdravila Miglustat Dipharma. Izvedlo je tudi študijo, ki je pokazala, da je zdravilo „bioekvivalentno“ referenčnemu zdravilu. Dve zdravili sta bioekvivalentni, kadar dosežeta enake ravni učinkovine v telesu in se zato pričakuje, da bosta imeli enak učinek.

Kakšne so koristi in tveganja zdravila Miglustat Dipharma?

Ker je zdravilo Miglustat Dipharma generično zdravilo in je bioekvivalentno referenčnemu zdravilu, so njegove koristi in tveganja enaki kot pri referenčnem zdravilu.

Zakaj je bilo zdravilo Miglustat Dipharma odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da je bilo v skladu z zahtevami EU dokazano, da ima zdravilo Miglustat Dipharma primerljivo raven kakovosti kot referenčno zdravilo Zavesca ter da mu je bioekvivalentno. Zato je menila, da koristi zdravila Miglustat Dipharma enako kot pri zdravilu Zavesca odtehtajo znana tveganja in da se zdravilo lahko odobri v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Miglustat Dipharma?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Miglustat Dipharma upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Miglustat Dipharma stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Miglustat Dipharma, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Miglustat Dipharma

Za zdravilo Miglustat Dipharma je bilo 18. februarja 2019 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej Evropski uniji.

Nadaljnje informacije o zdravilu Miglustat Dipharma so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ziextenzo. Informacije o referenčnem zdravilu so prav tako na voljo na spletni strani agencije.

Pregled je bil nazadnje posodobljen 06-2019.