

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustat*)

Pregled zdravila Miglustat Gen.Orph in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Miglustat Gen.Orph in za kaj se uporablja?

Zdravilo Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph 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.

Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph uporablja?

Zdravilo Miglustat Gen.Orph 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 bolezen 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 Gen.Orph je namenjeno za dolgotrajno uporabo.

Predpisovanje in izdaja zdravila Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Miglustat Gen.Orph deluje?

Učinkovina zdravila Miglustat Gen.Orph, 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph.

Kot to velja za vsako zdravilo, je podjetje zagotovilo študije o kakovosti zdravila Miglustat Gen.Orph. Izvedlo je tudi študijo, ki je pokazala, da je zdravilo „bioekvivalentno“ referenčnemu zdravilu. Dve zdravili sta bioekvivalentni, kadar dosegata enake ravni učinkovine v telesu in se zato pričakuje, da bosta imeli enak učinek.

Kakšne so koristi in tveganja, povezani z zdravilom Miglustat Gen.Orph?

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

Zakaj je bilo zdravilo Miglustat Gen.Orph odobreno v EU?

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

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Miglustat Gen.Orph?

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Miglustat Gen.Orph, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Miglustat Gen.Orph

Za zdravilo Miglustat Gen.Orph je bilo 10. novembra 2017 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Miglustat Gen.Orph so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Informacije o referenčnem zdravilu so prav tako na voljo na spletni strani agencije.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 06-2019.