

EMA/307451/2012
EMA/H/C/000435

Povzetek EPAR za javnost

Zavesca

miglustat

Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Zavesca. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil zdravilo Zavesca, na podlagi česar je oblikoval mnenje za odobritev dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo Zavesca?

Zavesca je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino miglustat. Na voljo je v obliki kapsul (100 mg).

Za kaj se zdravilo Zavesca uporablja?

Zdravilo Zavesca se uporablja za zdravljenje dveh prirojenih bolezni, ki vplivata na to, kako telo presnavlja maščobe. Obe bolezni povzročata kopičenje maščobnih snovi, imenovanih glikosfingolipidi, v telesu. Zdravilo Zavesca 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 ali kosti. Zdravilo Zavesca se uporablja pri bolnikih, pri katerih je standardno encimsko nadomestno zdravljenje (ERT) neprimerno.
- bolnikov vseh starosti z Niemann-Pickovo boleznijo tipa C, ki je lahko smrtna, pri kateri se glikosfingolipidi kopičijo v celicah v možganih in drugje v telesu. Zdravilo Zavesca se uporablja za zdravljenje nevroloških simptomov bolezni (simptomov, ki prizadenejo možgane in živce). Mednje spadajo izguba koordinacije, težave s hitrim, sunkovitim premikanjem oči, ki lahko vodi do okvare vida, zaostalost v razvoju, težave pri požiranju, zmanjšan tonus mišic, krči in težave pri učenju.

Ker je bolnikov s tema boleznima malo, veljata bolezni za redki, zato je bilo zdravilo Zavesca dne 18. oktobra 2000 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje Gaucherjeve bolezni tipa 1 in dne 16. februarja 2006 za zdravljenje Niemann-Pickove bolezni tipa C.

Izdaja zdravila je le na recept.

Kako se zdravilo Zavesca uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Zavesca mora uvesti in nadzorovati zdravnik z izkušnjami z zdravljenjem Gaucherjeve ali Niemann-Pickove bolezni.

Priporočeni začetni odmerek pri Gaucherjevi bolezni tipa 1 je ena kapsula trikrat na dan. Pri Niemann-Pickovi bolezni tipa C je priporočeni odmerek za bolnike, starejše od 12 let, dve kapsuli trikrat na dan, pri mlajših bolnikih pa je odmerek odvisen od njihove telesne mase in višine. Zdravilo Zavesca je predvideno za dolgotrajno uporabo.

Pri bolnikih z zmanjšanim delovanjem ledvic se uporablja manjši odmerek. Odmerek je treba začasno zmanjšati tudi pri bolnikih, pri katerih se pojavi driska. Za več informacij glejte povzetek glavnih značilnosti zdravila (ki je prav tako del EPAR).

Kako zdravilo Zavesca deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila Zavesca, miglustat, prepreči delovanje encima, imenovanega glukozilceramid sintaza. Ta encim sodeluje v prvi fazi izdelave glikosfingolipidov. S preprečevanjem delovanja encima miglustat zmanjša tvorjenje glikosfingolipidov v celicah. S tem naj bi bil razvoj simptomov Gaucherjeve bolezni tipa 1 upočasnen ali preprečen, simptomi Niemann-Pickove bolezni tipa C pa ublaženi.

Kako je bilo zdravilo Zavesca raziskano?

Zdravilo Zavesca so za zdravljenje Gaucherjeve bolezni tipa 1 proučevali v eni glavni študiji z 28 odraslimi z blago do zmerno boleznijo, ki se niso mogli ali hoteli zdraviti z ERT. Glavni del študije je trajal eno leto, 13 bolnikov pa je zdravilo jemalo še nadaljnji dve leti. V študiji so proučevali učinek zdravila Zavesca na velikost jeter in vranice ter krvne parametre, kot so ravni hemoglobina (proteina, ki se nahaja v rdečih krvnih celicah in prenaša kisik po telesu) ter trombocitov (celic, ki pomagajo pri strjevanju krvi).

Zdravilo Zavesca so za zdravljenje Niemann-Pickove bolezni tipa C proučevali v eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 31 bolnikov, od katerih jih je 12 bilo mlajših od 12 let. V študiji so učinke dodajanja zdravila Zavesca standardnemu zdravljenju primerjali z učinki samostojnega standardnega zdravljenja. Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba hitrosti, s katero je bolnik delal sunkovite vodoravne gibe z očmi po enem letu, v študiji pa so opazovali tudi druge nevrološke simptome, kot je bolnikova sposobnost požiranja in njegova intelektualna zmožnost. Nekateri bolniki so bili zdravljeni pet let in pol. Družba je predstavila tudi rezultate ankete pri 66 bolnikih, ki so prejeli zdravilo Zavesca.

Kakšne koristi je zdravilo Zavesca izkazalo med študijami?

V študiji Gaucherjeve bolezni tipa 1 je po enem letu prišlo do zmerne zmanjšanja velikosti jeter (12–odstotno zmanjšanje) in vranice (19–odstotno zmanjšanje). Prav tako je prišlo do manjšega izboljšanja krvnih parametrov: v povprečju se je raven hemoglobina povečala za 0,26 grama na deciliter, število trombocitov pa za 8,29 milijona na mililiter. Koristi zdravila Zavesca se v treh letih neprekinjenega jemanja niso spremenile.

V študiji Niemann-Pickove bolezni tipa C je bilo izboljšanje sunkovitosti gibov z očmi podobno pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Zavesca in tistih, ki ga niso. Vendar pa so bili pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Zavesca, opaženi znaki izboljšanja pri požiranju in intelektualni sposobnosti. Raziskava je

pokazala, da se je z zdravilom Zavesca hitrost slabšanja simptomov ustalila ali zmanjšala pri približno treh četrtinah bolnikov.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Zavesca?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Zavesca (opaženi pri več kot 1 od 10 bolnikov) so izguba telesne mase, zmanjšan tek, tremor (tresavica), driska, napenjanje (vetrovi) in bolečine v trebuhu. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Zavesca, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Zavesca ne smejo uporabljati osebe, ki so preobčutljive za (alergične na) miglustat ali katero koli drugo sestavino zdravila.

Zakaj je bilo zdravilo Zavesca odobreno?

CHMP je zaključil, da so koristi zdravila Zavesca večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj odobri dovoljenje za promet.

Zdravilo Zavesca je pridobilo dovoljenje za promet v „izjemnih okoliščinah“, saj so bile zaradi redkosti bolezni ob odobritvi dovoljenja na voljo le omejene informacije. Ker je družba predložila zahtevane dodatne informacije, so „izjemne okoliščine“ prenehale veljati 23. avgusta 2012.

Druge informacije o zdravilu Zavesca:

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Zavesca, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila dne 20. novembra 2002.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Zavesca je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Zavesca preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetki mnenj Odbora za zdravila sirote o zdravilu Zavesca so na voljo na spletni strani agencije na naslovu ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation:

- [Gaucherjeva bolezen](#);
- [Niemann-Pickova bolezen tipa C](#).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 08-2012.