



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Резюме на EPAR за обществено ползване

Zavesca miglustat

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Zavesca. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Zavesca.

Какво представлява Zavesca?

Zavesca е лекарство, съдържащо активното вещество миглустат (*miglustat*). Предлага се под формата на капсули (100 mg).

За какво се използва Zavesca?

Zavesca се използва за лечение на две наследствени заболявания, които засягат начина, по който организъмът обработва мазнините. И двете заболявания причиняват натрупване в организма на мастни вещества, наречени гликофинголипиди. Zavesca се използва за лечение на следните групи пациенти:

- възрастни (18 и повече години) с болестта на Гоше тип 1 в лека до умерена форма. На пациентите с това заболяване им липсва ензимът глюкоцереброзидаза, което води до натрупване на гликофосфолипид, наречен глюкозилцерамид, в различни части на тялото, например в далака, черния дроб и костите. Zavesca се използва при пациенти, при които не е подходящо стандартното лечение с ензимозаместваща терапия (ЕЗТ);
- пациенти на всякаква възраст с болестта на Ниман-Пик тип С – потенциално фатално заболяване, при което гликофинголипидите се натрупват в клетките на мозъка и в други части на тялото. Zavesca се използва за лечение на неврологичните симптоми на заболяването (симптоми, засягащи мозъка и нервите). Това включва загуба на координация, проблеми, изразяващи се в „сакадични“ (бързи) движения на очите, които могат да доведат



до нарушено зрение, забавено развитие, затруднено преглъщане, понижен мускулен тонус, пристъпи и затруднения в обучението.

Тъй като броят на пациентите с тези болести е малък, те се считат за редки и Zavesca е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 18 октомври 2000 г. за болестта на Гоше тип 1 и на 16 февруари 2006 г. за болестта на Ниман-Пик тип С.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Как се използва Zavesca?

Лечението със Zavesca трябва да се започва и следи от лекари с опит в лечението на болестта на Гоше или болестта на Ниман-Пик тип С.

Препоръчителната начална доза за болестта на Гоше тип 1 е една капсула перорално три пъти дневно. За болестта на Ниман-Пик тип С дозата е две капсули три пъти дневно за пациенти на възраст 12 и повече години; при по-млади пациенти дозата се определя в зависимост от теглото и възрастта на пациента. Zavesca е предназначен за продължителна употреба.

При пациенти с намалена бъбречна функция трябва да се прилага по-ниска доза. Също така дозата трябва временно да се намали при пациенти, които получават диария. За повече информация вижте кратката характеристика на продукта (също част от EPAR).

Как действа Zavesca?

Активното вещество в Zavesca, миглустат, блокира действието на ензима глюкозилцерамид синтаза. Този ензим участва в първата стъпка от производството на гликофинголипиди. Като блокира действието на ензима, миглустат може да намали производството на гликофинголипиди в клетките. Очаква се по този начин да се намали или предотврати развитието на симптомите на болестта на Гоше тип 1 и да се намалят симптомите на болестта на Ниман-Пик тип С.

Как е проучен Zavesca?

За болестта на Гоше тип 1 Zavesca е изследван в едно основно проучване, обхващащо 28 пациенти с лека до умерена форма, които не могат или не желаят да им бъде приложена ЕЗТ. Основната част от проучването продължава една година, но 13 пациенти продължават да приемат лекарството в продължение на още две години. Проучването разглежда ефекта на Zavesca върху размера на черния дроб и далака и кръвните показатели, например нивата на хемоглобина (протеин в червените кръвни клетки, който пренася кислород в организма) и на тромбоцитите (съставни части на кръвта, които спомагат за кръвосъсирването).

За болестта на Ниман-Пик тип С Zavesca е проучен в едно основно проучване, обхващащо 31 пациенти, 12 от които са на възраст под 12 години. Проучването сравнява ефектите от добавяне на Zavesca към стандартни грижи с ефектите от прилагане на стандартни грижи самостоятелно. Основната мярка за ефективност е промяната в скоростта, с която пациентът извършва хоризонталните сакадични движения на очите, след една година, но проучването разглежда също други неврологични симптоми, например способността на пациентите да преглъщат и тяхната интелектуална функция. Някои пациенти са лекувани за период до пет години и половина. Фирмата предоставя също резултатите от изследване при 66 пациенти, лекувани със Zavesca.

Какви ползи от Zavesca са установени в проучванията?

В проучването при болестта на Гоше тип 1 се отбелязва умерено намаляване на размера на черния дроб (12% намаление) и далака (19% намаление) след една година. Наблюдават се също малки подобрения в кръвните показатели: нивата на хемоглобина се увеличават средно с 0,26 g на децилитър, а броят на тромбоцитите – с 8,29 милиона за милилитър. При непрекъснато лечение ползите от Zavesca се поддържат в продължение на три години.

В проучването при болестта на Ниман-Пик тип С подобрението в движенията на очите е сходно при пациентите, лекувани със и без Zavesca. Въпреки това се наблюдават признаци на подобрение в способността за преглъщане и интелектуалната функция при пациентите, лекувани със Zavesca. Изследването показва, че Zavesca води до стабилизиране или намаляване на скоростта, с която симптомите се влошават при около три четвърти от пациентите.

Какви са рисковете, свързани със Zavesca?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Zavesca (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са загуба на тегло, намален апетит, тремор (треперене), диария, флатуленция (газове) и абдоминална (стомашна) болка. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Zavesca, вижте листовката.

Zavesca не трябва да се прилага при хора, които са свръхчувствителни (алергични) към миглуSTAT или към някоя от останалите съставки.

Защо Zavesca е разрешен за употреба?

CHMP реши, че ползите от Zavesca са по-големи от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

Първоначално Zavesca е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, тъй като, поради рядкото разпространение на тези болести, към момента на разрешаването е била налична ограничена информация. Тъй като фирмата е предоставила изискваната допълнителна информация, извънредните обстоятелства са отменени на 23 август 2012 г.

Допълнителна информация за Zavesca:

На 20 ноември 2002 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Zavesca, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Zavesca може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. За повече информация относно лечението със Zavesca прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюмета от становищата на Комитета по лекарствата сираци за Zavesca могат да се намерят на уебсайта на Агенцията ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations:

- [болест на Гоше](#);
- [болест на Ниман-Пик тип С](#).

Дата на последно актуализиране на текста: 08-2012.