



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Zavesca

miglustaat

See on ravimi Zavesca Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloo andmist; samuti esitatakse komitee soovitused, kuidas ravimit kasutada.

Mis on Zavesca?

Zavesca on ravim, mis sisaldab toimeainena miglustaati. Seda turustatakse kapslitena (100 mg).

Milleks Zavescat kasutatakse?

Zavescaga ravitakse kaht harvaesinevat pärilikku haigust, mis mõjutavad rasvade ainevahetust organismis. Mõlemad haigused põhjustavad rasvainete glükosfingolipiidide teket organismis. Zavescat kasutatakse järgmiste patsientide ravis:

- vähemalt 18-aastased täiskasvanud kerge või mõõduka I tüüpi Gaucher' tõvega. Selle haigusega patsientidel on ensüümi glükotserebrosidaasi vaegus, mistõttu koguneb eri kehaosadesse, näiteks põrna, maksa ja luudesse, glükosüülseramiidiks nimetatavat glükosfingolipiidi. Zavescat kasutatakse patsientidel, keda ei saa ravida standardse ensüümasendusraviga;
- C-tüüpi Niemanni-Picki tõvega igas vanuses patsiendid. See võib olla surmav haigus, mille korral patsientidel ladestub ajurakkudesse ja mujale organismi glükosfingolipiide. Zavescaga ravitakse haiguse neuroloogilisi (peaaju ja närve mõjutavaid) sümptomeid. Nende hulka kuuluvad koordinatsioonivõime kadumine, sakaadiliste (aktiivse vaatlemisega seotud kiirete) silmaliigutuste häired, mis võivad halvendada nägemist, arengupeetus, neelamisraskused, lihastoonuse vähenemine, krampid ja õppimisraskused.

Et nende haigustega patsiente on vähe ja neid haigusi esineb harva, nimetati Zavesca 18. oktoobril 2000 I tüüpi Gaucher' tõve ja 16. veebruaril 2006 C-tüüpi Niemanni-Picki tõve harvikravimiks.



Zavesca on retseptiravim.

Kuidas Zavescat kasutatakse?

Ravi Zavescaga tohib alustada üksnes Gaucher' tõve või C-tüüpi Niemann-Picki tõve ravis kogenud arst ning ravi peab toimuma tema järelevalve all.

Soovitav algannus I tüüpi Gaucher' tõve korral on üks kapsel kolm korda ööpäevas. C-tüüpi Niemann-Picki tõve korral on vähemalt 12-aastaste patsientide algannus kaks kapslit kolm korda ööpäevas, nooremate patsientide annus oleneb nende kaalust ja pikkusest. Zavesca on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks.

Vähenenud neerutalitlusega patsientidel peab kasutama väiksemat annust. Patsientidel, kellel tekib kõhulahtisus, peab annust ajutiselt vähendama. Üksikasjalik teave on ravimi omaduste kokkuvõttes (samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa).

Kuidas Zavesca toimib?

Zavesca toimeaine miglustaat pärsib ensüümi glükosüülteramiidsüntaasi toimet. See ensüüm osaleb glükosfingolipiidide tekke esimesel etapil. Ensüümi toime pärssimisega vähendab miglustaat glükosfingolipiidide teket rakkudes. Eeldatavasti aeglustab või ennetab miglustaat sel viisil I tüüpi Gaucher' tõve sümptomite teket ja vähendab C-tüüpi Niemann-Picki tõve sümptomeid.

Kuidas Zavescat uuriti?

Zavesca efektiivsust I tüüpi kerge kuni mõõduka Gaucher' tõve ravis uuriti ühes põhiuuringus 28 patsiendil, kellele ensüümasendusravi ei saanud teha või kes seda ei soovinud. Uuringu põhiosa kestis üks aasta, kuid 13 patsienti said ravimit veel kaks aastat. Uuringus jälgiti Zavesca toimet maksa ja põrna suurusele ning verenäitajatele, nagu hemoglobiini (vere punaliblede valk, mis kannab hapnikku organismis laiali) ja trombotsüütide (vereliistakud ehk hüübimist soodustavad vererakud) sisaldus.

Zavesca efektiivsust C-tüüpi Niemann-Picki tõve korral uuriti ühes põhiuuringus, milles osales 31 patsienti, kellest 12 olid alla 12-aastased. Uuringus võrreldi Zavesca ja tavalise ravi koosmõju tavalise ravi mõjuga. Efektiivsuse põhinäitaja oli muutus patsiendi sakaadiliste horisontaalsete silmaliigutuste kiiruses pärast üheaastast ravi, kuid vaadeldi ka teisi neuroloogilisi sümptomeid, nagu patsiendi neelamisvõime ja vaimsed võimed. Osa patsiente raviti kuni viis ja pool aastat. Ettevõtte esitas samuti Zavescaga ravitud 66 patsiendi uuringu tulemused.

Milles seisneb uuringute põhjal Zavesca kasulikkus?

I-tüüpi Gaucher' tõvega patsientide uuringus vähenes maksa ja põrna suurus ühe aasta möödudes veidi, vastavalt 12% ja 19%. Ka verenäitajad paranesid mõnevõrra: hemoglobiini sisaldus suurenes keskmiselt 0,26 g/dl võrra ja trombotsüütide sisaldus suurenes 8,29 miljoni võrra milliliitri kohta. Zavesca kasulikkus säilis enam kui kolm aastat kestnud ravis.

C-tüüpi Niemann-Picki tõve uuringus oli silmaliigutuste paranemine Zavescaga ravitud patsientidel samalaadne kui neil, kes Zavesca ravi ei saanud. Zavesca ravi saanud patsientidel täheldati siiski neelamisvõime ja vaimsete võimete paranemist. Uuring näitas, et ligikaudu kolmel neljandikul patsientidest stabiliseeris Zavesca sümptomeid või vähendas nende progresseerumise kiirust.

Mis riskid Zavescaga kaasnevad?

Zavesca kõige sagedamad kõrvalnähud (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) on kehakaalu vähenemine, söögiisu vähenemine, värin, kõhulahtisus, kõhupuhitus ja kõhuvalu. Zavesca kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Zavescat ei tohi kasutada patsiendid, kes on miglustaadi või ravimi mis tahes muu koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised).

Miks Zavesca heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Zavesca kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas anda ravimi müügiloa.

Esialgul kiideti Zavesca heaks erandkorras, sest haigus esineb harva ja ravimi heakskiitmise ajal ei olnud piisavalt teavet. Et ettevõtte esitas nõutud lisateabe, tühistati 23. augustil 2012 müügiloa erandkorras väljastatus.

Muu teave Zavesca kohta

Euroopa Komisjon andis Zavesca müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 20. novembril 2002.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Zavesca kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Zavescaga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuste kokkuvõtted Zavesca kohta on ameti veebilehel aadressil [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations):

- [Gaucher' tõbi](#);
- [C-tüüpi Niemann-Picki tõbi](#).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 08-2012.