



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Zavesca miglusztát

Ez a dokumentum a Zavesca-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Zavesca alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Zavesca?

A Zavesca egy miglusztát nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Kapszula formájában kapható (100 mg).

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Zavesca?

A Zavesca-t két olyan örökletes betegség kezelésére alkalmazzák, amelyek hatással vannak a szervezet zsíryanagcseréjére. Mindkét betegség a glikoszfinbolipidnek nevezett zsírok felhalmozódását idézi elő a szervezetben. A Zavesca-t a következő betegek esetében alkalmazzák:

- enyhe és közepesen súlyos, 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő felnőttek (18 éves vagy annél idősebb); Az ebben a betegségben szenvedő betegeknél hiányzik a glükocerebrozidáznak nevezett enzim, amely a glükozilceramid nevű glikoszfinbolipid felhalmozódását eredményezi a szervezet különböző részeiben, például a lépben, a májban vagy a csontokban. A Zavesca-t olyan betegeknél alkalmazzák, akik nem részesülhetnek standard enzimhelyettesítő (ERT) terápiában;
- Mindenféle korú betegek, akik C típusú Niemann-Pick-betegségben, egy olyan potenciálisan halálos betegségben szenvednek, amelynek során a glikoszfinbolipidek az agy és a szervezet más részeiben található sejtekben halmozódnak fel. A Zavesca-t a betegség neurológiai tüneteinek (tünetek, amelyek az agyat és az idegeket érintik) kezelésére alkalmazzák. Ide tartozik a koordináció elvesztése, a „szakkádikus” (gyors) szemmozgás, amely látászavarhoz vezethet, a késleltetett fejlődés, a nyelési nehézség, az izomtónus-csökkenés, a görcsök és a tanulási nehézségek.



Mivel a Gaucher-kórban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Zavesca az 1-es típusú Gaucher-kór vonatkozásában 2000. október 18-án, a C típusú Niemann-Pick-betegség vonatkozásában pedig 2006. február 16-án megkapta a „ritka betegség gyógyszere” minősítést.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Zavesca-t?

A Zavesca-val végzett kezelést a Gaucher-kór vagy a C típusú Niemann-Pick-betegség kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

1-es típusú Gaucher-kór esetében az ajánlott kezdő adag naponta háromszor egy kapszula. C típusú Niemann-Pick-betegség esetében az ajánlott adag naponta háromszor két kapszula a 12 éves és annál idősebb betegeknél, az ennél fiatalabb betegeknél pedig az adag a testtömeg és a testmagasság függvénye. A Zavesca-t hosszú távú használatra szánják.

Csökkent vesefunkcióban szenvedő betegeknél az adagot csökkenteni kell. Az adagot átmenetileg csökkenteni kell azoknál a betegeknél, akiknél hasmenés jelentkezik. A részletes leírást lásd a (szintén az EPAR részét képező) alkalmazási előírásban!

Hogyan fejt ki hatását a Zavesca?

A Zavesca hatóanyaga, a miglusztát, megakadályozza a glükoszilceramid-szintáznak nevezett enzim működését. Ez az enzim a glikoszfinbolipidek előállításának első fázisában vesz részt. Az enzim működésének gátlásával, a miglusztát képes a glikoszfinbolipidek sejteken belüli termelésének csökkentésére. Ez várhatóan lelassítja vagy megelőzi az 1-es típusú Gaucher-kór tüneteinek kialakulását, illetve enyhíti a C típusú Niemann-Pick-betegség tüneteit.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Zavesca-t?

Az 1-es típusú Gaucher-kór esetében a Zavesca hatásosságát egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelybe 28 olyan, enyhe vagy közepesen súlyos betegségben szenvedő beteget vontak be, akik nem tudtak vagy nem akartak az enzimhelyettesítő terápiában (ERT) részt venni. A vizsgálat fő része egy évig tartott, 13 beteg azonban még két évig kapta a gyógyszert. A vizsgálatban azt mérték, hogy a Zavesca milyen hatással van a máj és a lép méretére, illetve a vérképre, pl. a hemoglobinszintjére (egy a vörösvérsejtben található, az oxigént a szervezetben szállító fehérje) és a vérlemezkék (a véralvadást elősegítő összetevők) számára.

A C típusú Niemann-Pick-betegség esetében a Zavesca-t egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelybe 31 olyan beteget vontak be, akik közül 12-en 12 évnél fiatalabbak voltak. A vizsgálat a Zavesca-val kiegészített standard kezelést az önmagában alkalmazott standard kezeléssel hasonlította össze. A hatásosság fő mértéke a betegeknél mért gyors, horizontális szemmozgás sebességének változása volt egy év után. A vizsgálat során más neurológiai tüneteket is tanulmányoztak, mint pl. a beteg nyelési képességét és értelmi funkcióját. Egyes betegeket öt és fél évig kezeltek. A vállalat benyújtotta egy felmérés eredményét is, amelyet a 66 Zavesca-val kezelt betegnél végeztek.

Milyen előnyei voltak a Zavesca alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az 1-es típusú Gaucher-kór esetében a máj (12%) és a lép (19%) méretében enyhe mértékű csökkenés következett be egy év elteltével. A vérképben is enyhe mértékű javulás következett be: a hemoglobinszintje deciliterenként 0.26 mg-al, míg a vérlemezkék száma milliliterenként 8.29 millióval

növekedett átlagosan. A Zavesca előnyei több mint három évi, folyamatos kezelés után is fennmaradtak.

A C típusú Niemann-Pick-betegség esetében a szemmozgásokkal kapcsolatos javulás a Zavesca-val vagy anélkül kezelt betegeknél hasonló volt. Javulás jelei mutatkoztak azonban a Zavesca-val kezelt betegek nyelési képességeit és értelmi funkcióit illetően. A felmérés azt mutatta, hogy a Zavesca a betegek mintegy háromnegyedénél a tünetek rosszabbodását mérő szám stagnálásához vagy csökkenéséhez vezetett.

Milyen kockázatokkal jár a Zavesca alkalmazása?

A Zavesca leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentezik) a fogyás, étvágytalanság, a remegés, a hasmenés, a szélgörcs és a hasi fájdalom. A Zavesca alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban!

A Zavesca nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) a miglusztáttal vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben.

Miért engedélyezték a Zavesca forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy a Zavesca alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A Zavesca-t eredetileg „kivételes körülmények” között engedélyezték, mivel a betegségek ritkák, és az engedélyezés időpontjában korlátozott információ állt rendelkezésre. Miután a vállalat benyújtotta a további szükséges információkat, a „kivételes körülmények” 2012. augusztus 23-án megszűntek.

A Zavesca-val kapcsolatos egyéb információ:

2002. november 20-án az Európai Bizottság a Zavesca-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Zavesca-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Zavesca-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Zavesca-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations):

- [Gaucher kór](#);
- [C típusú Niemann-Pick-betegség](#).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 08-2012.