



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Europos santrauka plačiajai visuomenei

Zavesca

miglustatas

Šis dokumentas yra Zavesca Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Zavesca rinkodaros leidimą ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

Kas yra Zavesca?

Zavesca – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos miglustato. Jis tiekiamas kapsulėmis (po 100 mg).

Kam vartojamas Zavesca?

Zavesca skirtas dviem paveldimoms ligoms, kurios apsunkina riebalų įsisavinimą organizme, gydyti. Sergant šiomis ligomis organizme pradeda kauptis riebalinės medžiagos glikosfingolipidai. Zavesca skirtas gydyti:

- I tipo lengvos arba vidutinio sunkumo formos Gošė (Gaucher) liga sergantiems suaugusiems pacientams (18 metų arba vyresniems). Šia liga sergančių pacientų organizme trūksta fermento gliukocerebrozidazės, dėl to įvairiuose organuose, pvz., blužnyje, kepenyse ir kauluose, pradeda kauptis gliukozilseramidai glikosfingolipidai. Zavesca skiriamas pacientams, kuriems negalima taikyti standartinės pakaitinės fermentų terapijos;
- pacientams, sergantiems C tipo Nimano-Piko (Niemann-Pick) liga, kuri gali būti mirtina, kadangi glikosfingolipidai kaupiasi smegenų ir kitų organų ląstelėse. Zavesca skiriamas neurologiniams ligos simptomams (pasireiškiantiems smegenyse ir nervuose) malšinti. Tokie simptomai tai – koordinacijos sutrikimas, sakadiniai (greiti) akių judesiai, dėl kurių gali sutrikti regėjimas, sulėtėjęs vystymasis, rijimo sutrikimai, sumažėjęs raumenų tonusas, priepuoliai ir mokymosi sunkumai.

Kadangi šiomis ligomis sergančių pacientų nėra daug, ir jos laikomos retomis, Zavesca priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai I tipo Gošė ligai gydyti 2000 m. spalio 18 d. ir C tipo Nimano-Piko ligai gydyti – 2006 m. vasario 16 d.



Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Kaip vartoti Zavesca?

Gydymą Zavesca turi pradėti ir stebėti gydytojas, turintis Gošė arba C tipo Nimano-Piko ligos gydymo patirties.

Rekomenduojama pradinė vaisto dozė I tipo Gošė liga sergantiems pacientams yra po vieną kapsulę tris kartus per parą. C tipo Nimano-Piko liga sergantiems 12 metų ir vyresniems pacientams rekomenduojama vaisto dozė yra po 2 kapsules tris kartus per parą. Jaunesniems pacientams skiriama dozė priklauso nuo jų ūgio ir svorio. Zavesca skirtas ilgalaikiam vartojimui.

Inkstų veiklos sutrikimų turintiems pacientams reikia skirti mažesnę vaisto dozę. Dozę reikia laikinai sumažinti, jei pacientui pasireiškia viduriavimas. Daugiau informacijos rasite preparato charakteristikų santraukoje (taip pat EPAR dalis).

Kaip veikia Zavesca?

Veiklioji Zavesca medžiaga miglustatas slopina fermento gliukozilceramido vykdomą sintezę. Šis fermentas dalyvauja pirmame glikosfingolipidų gamybos etape. Neleisdamas fermentui veikti miglustatas gali sumažinti ląstelėse pagaminamų glikosfingolipidų kiekį. Manoma, kad tai sulėtina I tipo Gošė ligos simptomų atsiradimą arba neleidžia jiems atsirasti ir palengvina C tipo Nimano-Piko ligos simptomus.

Kaip buvo tiriamas Zavesca?

Zavesca poveikis I tipo Gošė liga sergantiems pacientams buvo vertinamas viename pagrindiniame tyrime su 28 lengvos arba vidutinio sunkumo formos liga sergančiais pacientais, kuriems nebuvo galima taikyti arba kurie atsisakė pakaitinės fermentų terapijos. Šis tyrimas truko vienerius metus, tačiau 13 pacientų šiuo vaistu buvo gydomi dar 2 metus. Tyrime buvo vertinama, ar Zavesca turi įtakos ligos pažeistų organų, pavyzdžiui, kepenų ar blužnies, dydžiui ir kraujo parametrams, pavyzdžiui, hemoglobino (raudonųjų kraujo kūnelių baltymo, kuris perneša deguonį organizme) ir trombocitų (skatinančių kraujo krešėjimą) koncentracijoms.

Zavesca poveikiui C tipo Nimano-Piko liga sergantiems pacientams ištirti atliktas vienas pagrindinis tyrimas, kuriame dalyvavo 31 pacientas, iš kurių 12 buvo jaunesni negu 12 metų amžiaus. Tyrime su standartiniu gydymu skiriamo Zavesca poveikis buvo lyginamas su vien standartinio gydymo poveikiu. Pagrindinis vaisto veiksmingumo rodiklis buvo per metus pakitęs pacientų horizontalių sakadinių akies judesių greitis, tačiau tyrime taip pat buvo vertinami kiti neurologiniai simptomai, pvz., pacientų gebėjimas ryti ir jų protinė funkcija. Kai kurie pacientai buvo gydomi iki penkerių su puse metų. Bendrovė taip pat pateikė 66 Zavesca gydytų pacientų apklausos rezultatus.

Kokia Zavesca nauda nustatyta tyrimuose?

Tiriant vaisto veiksmingumą I tipo Gošė liga sergantiems pacientams, nustatyta, kad per metus pacientų kepenų ir blužnies apimtis sumažėjo nežymiai (atitinkamai 12 proc. ir 19 proc.). Taip pat šiek tiek padidėjo kraujo kūnelių kiekis: pastebėtas vidutinis hemoglobino koncentracijos padidėjimas 0,26 g viename decilitre ir vidutinis trombocitų skaičiaus padidėjimas 8,29 milijonų viename mililitre. Taikant nuolatinį gydymą Zavesca poveikis išsilaikė daugiau kaip trejus metus.

Tiriant vaisto poveikį C tipo Nimano-Piko liga sergantiems pacientams nustatyta, kad ir Zavesca, ir kitais vaistais gydomų pacientų akių judesiai pagerėjo panašiai. Tačiau pastebėta, kad Zavesca

gydomų pacientų gebėjimas ryti ir protinės funkcijos pagerėjo. Apklausa parodė, kad maždaug trims ketvirtadaliams pacientų Zavesca sustabdė arba sumažino ligos simptomų sunkėjimą.

Kokia rizika siejama su Zavesca vartojimu?

Dažniausi Zavesca šalutiniai reiškiniai (pastebėti daugiau nei 1 iš 10 pacientų) yra svorio mažėjimas, sumažėjęs apetitas, drebulys, viduriavimas, vidurių pūtimas ir pilvo (skrandžio) skausmas. Išsamų visų šalutinių reiškinių, apie kuriuos pranešta gydant Zavesca, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Zavesca negalima skirti esant padidėjusiam jautrumui (alergijai) miglustatui arba kitoms pagalbinėms medžiagoms.

Kodėl Zavesca buvo patvirtintas?

CHMP nusprendė, kad Zavesca nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo rinkodaros leidimą.

Iš pradžių Zavesca rinkodaros leidimas suteiktas išimtinėmis sąlygomis, kadangi dėl ligų retumo buvo neįmanoma gauti visos reikiamos informacijos apie šį vaistą. Bendrovei pateikus reikalaujamą papildomą informaciją, 2012 m. rugpjūčio 23 d. išimtinių aplinkybių sąlyga panaikinta.

Kita informacija apie Zavesca:

Europos Komisija 2002 m. lapkričio 20 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Zavesca rinkodaros leidimą.

Išsamų Zavesca EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą Zavesca rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistų komiteto nuomonių apie Zavesca santraukas rasite agentūros interneto svetainėje: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

- [Gošė liga](#);
- [C tipo Nimano-Piko liga](#).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2012-08.