

INFORME PÚBLICO EUROPEO DE EVALUACIÓN (EPAR)**ZAVESCA****Resumen del EPAR para el público general**

En el presente documento se resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR). En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado los estudios realizados con el medicamento a fin de emitir unas recomendaciones sobre su uso. Si desea más información sobre su enfermedad o el tratamiento de la misma, le aconsejamos que lea el prospecto (incluido en el EPAR) o pregunte a su médico o su farmacéutico. Si desea más información sobre el fundamento en el que se han basado las recomendaciones del CHMP, le aconsejamos que lea el Debate Científico (también incluido en el EPAR).

Qué es Zavesca?

Zavesca es un medicamento que contiene el principio activo miglustat y se presenta en cápsulas de color blanco (100 mg).

Para qué se utiliza Zavesca?

Zavesca se utiliza para el tratamiento de dos enfermedades hereditarias raras que afectan a la forma en la que el organismo procesa las grasas. Ambas enfermedades provocan la acumulación de sustancias grasas llamadas glicosfingolípidos en el organismo. Zavesca se utiliza en los siguientes grupos:

- adultos con la enfermedad de Gaucher de tipo 1 leve o moderada. A los pacientes con esta enfermedad les falta una enzima llamada glucocerebrosidasa que da lugar a la formación de glicosfingolípidos llamados glucosilceramidas en diferentes partes del organismo, como el bazo, el hígado y los huesos. Zavesca se utiliza en pacientes que no pueden recibir el tratamiento estándar en forma de terapia de sustitución enzimática por perfusión (goteo en vena).
- adultos, adolescentes y niños con la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C, enfermedad potencialmente mortal en la que se acumulan los glicosfingolípidos en las células del cerebro y en todas las partes del cuerpo. Zavesca se utiliza en el tratamiento de los síntomas «neurológicos» de la enfermedad (síntomas que afectan al cerebro y los nervios). Los síntomas consisten en una pérdida progresiva de la coordinación, problemas con los movimientos «sacádicos» (rápidos) de los ojos que pueden deteriorar la visión, retraso del desarrollo, dificultad para tragar, aumento del tono muscular, crisis y problemas de aprendizaje.

Dado el escaso número de personas que padecen estas enfermedades, se consideran «raras», y Zavesca fue designado «medicamento huérfano» (medicamento utilizado en enfermedades poco frecuentes) el 18 de octubre de 2000 para la enfermedad de Gaucher de tipo 1 y el 16 de febrero de 2006 para la enfermedad de Niemann Pick de tipo C.

Este medicamento solo podrá dispensarse con receta médica.

Cómo se usa Zavesca?

El tratamiento con Zavesca debe ser iniciado y controlado por médicos expertos en el tratamiento de la enfermedad de Gaucher o de la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C.

La dosis de inicio recomendada para el tratamiento de la enfermedad de Gaucher de tipo 1 es de una cápsula administrada por vía oral tres veces al día. Para la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C, la

dosis recomendada es de dos cápsulas tres veces al día para adultos y adolescentes. La dosis depende del peso y la altura de los niños menores de 12 años. Zavesca se puede tomar con o sin alimentos, y está destinado a un uso a largo plazo.

La dosis debería reducirse en pacientes con problemas renales y, temporalmente, en pacientes con diarrea. Zavesca no se ha estudiado en pacientes con problemas hepáticos. Para obtener más información, véase el Resumen de Características del Producto (que también forma parte del EPAR).

Cómo actúa Zavesca?

El principio activo de Zavesca, el miglustat, impide el funcionamiento de una enzima llamada «glucosilceramida sintasa» que interviene en el primer paso de la producción de los glucoesfingolípidos. Al impedir el funcionamiento de esta enzima, el miglustat reduce la producción de glucoesfingolípidos en las células. Se espera que de este modo se ralentice o se impida el desarrollo de los síntomas de la enfermedad de Gaucher de tipo 1 y se reduzcan los síntomas de la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C.

Qué tipo de estudios se han realizado con Zavesca?

La eficacia de Zavesca en la enfermedad de Gaucher de tipo 1 se ha investigado en un estudio principal en el que participaron 28 pacientes que no podían o eran reticentes a recibir un tratamiento de reposición enzimática. La parte principal del estudio duró un año, pero 13 pacientes continuaron recibiendo el medicamento durante dos años más. El estudio permitió determinar si Zavesca tenía algún efecto sobre el tamaño del hígado y el bazo, y si mejoraba el recuento de sangre, como el nivel de hemoglobina (una proteína que se encuentra en los glóbulos rojos y transporta el oxígeno por todo el organismo) y el recuento de plaquetas (componentes que contribuyen a la coagulación de la sangre). La eficacia de Zavesca en la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C se investigó en un estudio principal en el que participaron 31 pacientes, 12 de los cuales eran menores de 12 años. El estudio comparó los efectos de añadir Zavesca a un tratamiento habitual (medidas utilizadas para aliviar síntomas) con un tratamiento estándar solo. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la variación de la velocidad a la que los pacientes hacían movimientos oculares sacádicos horizontales después de un año de tratamiento, pero el estudio también observó otros síntomas neurológicos como la capacidad de los pacientes de tragar y su actividad intelectual. Algunos pacientes fueron tratados durante más de un año y medio. También se realizó un estudio a 66 pacientes tratados con Zavesca.

Qué beneficio ha demostrado tener Zavesca durante los estudios?

En el estudio de la enfermedad de Gaucher de tipo 1 se observó después de un año una disminución del 12 % en el volumen del hígado y del 19 % en el volumen del bazo. Como media, el nivel de hemoglobina aumentó un 0,26 g por decilitro, y el recuento de plaquetas en 8,29 millones por mililitro. Los beneficios de Zavesca persistieron durante tres años de tratamiento continuo.

En el estudio de Niemann-Pick de tipo C, la mejora observada en los movimientos de los ojos fue similar tanto en los pacientes tratados con Zavesca como en los que no recibieron el medicamento. Sin embargo, se observaron signos de mejoría en la capacidad de tragar y en la actividad intelectual de los pacientes tratados con Zavesca. El estudio mostró que con Zavesca se conseguía una estabilización o disminución de la tasa en la que los síntomas empeoraban en aproximadamente tres cuartos de los pacientes.

Cuál es el riesgo asociado a Zavesca?

Los efectos secundarios más frecuentes de Zavesca (observados en más de uno de cada diez pacientes) son pérdida de peso, temblor, diarrea, flatulencia (gases) y dolor abdominal (de barriga). La lista completa de todos los efectos secundarios comunicados sobre Zavesca puede consultarse en el prospecto.

Zavesca no se debe administrar a personas con hipersensibilidad (alergia) al miglustat o a cualquiera de los otros componentes del medicamento.

Por qué se ha aprobado Zavesca?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano decidió que los beneficios de Zavesca son superiores a sus riesgos en el tratamiento por vía oral de pacientes adultos con la enfermedad de Gaucher de tipo 1 leve a moderada para aquellos pacientes en los que el tratamiento de reposición enzimático era inadecuado, y en el tratamiento de las manifestaciones progresivas neurológicas en adultos y pacientes

pediátricos con la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C. En consecuencia, el Comité recomendó que se autorizase su comercialización.

Zavesca ha sido autorizado en «circunstancias excepcionales» ya que, debido a la rareza de la enfermedad, no ha sido posible obtener una información completa del medicamento. La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará todos los años la información nueva que pueda estar disponible y este resumen se actualizará cuando sea necesario.

Qué información falta todavía sobre Zavesca?

La empresa que elabora completará los siguientes estudios sobre la eficacia y seguridad del producto, en la enfermedad de Gaucher de tipo 1:

- un programa de seguimiento posterior a la comercialización que informe a los médicos sobre las condiciones de uso de Zavesca y consiga que los pacientes informen sobre la seguridad del medicamento;
- un estudio de seguimiento a los pacientes que estén participando en ensayos clínicos para continuar evaluando la seguridad y eficacia del medicamento y conocer mejor los aspectos neurológicos de la enfermedad;
- un estudio para examinar la eficacia y seguridad de Zavesca en pacientes que hayan estado recibiendo antes tratamiento de reposición enzimática (TRE);
- un nuevo estudio de la evolución natural de la enfermedad, junto con el Grupo de trabajo europeo sobre la enfermedad de Gaucher (European Working Group for Gaucher Disease, EWGGD).

Otras informaciones sobre Zavesca

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Zavesca el 20 de noviembre de 2002. El titular de la autorización de comercialización es Actelion Registration Ltd. La autorización de comercialización fue renovada el 20 de noviembre de 2007.

El registro de la designación de Zavesca como medicamento huérfano está disponible [aquí](#) (enfermedad de Gaucher de tipo 1) y [aquí](#) (enfermedad de Niemann-Pick de tipo C).

El texto completo del EPAR de Zavesca puede encontrarse [aquí](#).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 01-2009.