

## **Streszczenie planu zarządzania ryzykiem dla produktu leczniczego Miglustat Waymade (Miglustatum)**

To jest streszczenie planu zarządzania ryzykiem (RMP) dla produktu leczniczego Miglustat Waymade. Dokument opisuje w szczegółowy sposób istotne ryzyka związane ze stosowaniem produktu Miglustat Waymade, w jaki sposób ryzyko można ograniczyć, i jak pozyskać więcej informacji o zagrożeniach i danych na temat brakujących informacji związanych z przyjmowaniem produktu leczniczego Miglustat Waymade.

Charakterystyka produktu leczniczego Miglustat Waymade i ulotka dla pacjenta zawiera najważniejsze informacje dla osób wykonujących zawody medyczne i dla pacjentów, jak produkt leczniczy Miglustat Waymade powinien być stosowany.

Ważne nowe zagadnienia lub zmiany odnoszące się do już opisanych kwestii powinny zostać zawarte w aktualizacji RMP dla produktu leczniczego Miglustat Waymade.

### **I. Informacje o produkcie i wskazaniach do jego stosowania**

Miglustat Waymade jest zarejestrowany do stosowania w leczeniu doustnym dorosłych pacjentów z łagodną do umiarkowanej postacią choroby Gauchera typu 1. Miglustat Waymade może być stosowany wyłącznie w leczeniu pacjentów, u których terapia enzymatyczna zastępcza jest nieodpowiednia.

Miglustat Waymade jest zarejestrowany do stosowania w leczeniu postępujących objawów neurologicznych u dorosłych i dzieci z chorobą Niemann-Picka typu C (pełne wskazania znajdują się w charakterystyce produktu leczniczego).

Produkt leczniczy zawiera miglustat jako substancję czynną i jest podawany doustnie.

### **II. Ryzyko związane ze stosowaniem produktu leczniczego i aktywności jakie należy podjąć w celu zmniejszenia ryzyka lub dalszego jego scharakteryzowania**

Istotne ryzyka produktu leczniczego Miglustat Waymade, łącznie z działaniami podejmowanymi w celu zmniejszenia tych ryzyk i propozycje badań umożliwiających lepsze poznanie zagrożeń związanych ze stosowaniem produktu leczniczego Miglustat Waymade wymieniono poniżej.

Działania podejmowane w celu zmniejszenia ryzyka to:

- Specjalne informacje, takie jak ostrzeżenia i specjalne środki ostrożności, zalecenia odnoszące się do prawidłowego sposobu stosowania, zamieszczone w ulotce dla pacjenta, w Charakterystyce produktu leczniczego przeznaczonej dla osób wykonujących zawody medyczne;
- Ważne zalecenia zamieszczone na opakowaniu leku;
- Zatwierdzenie odpowiedniej wielkości opakowania leku, zapewniające jego właściwe stosowanie;
- Nadanie właściwej kategorii dostępności leku – sposób w jaki pacjent nabywa lek (np. z lub bez recepty) może zminimalizować ryzyko związane z jego stosowaniem.

Wszystkie te działania to rutynowe środki minimalizacji ryzyka.

W uzupełnieniu do tych działań, regularnie gromadzi się i analizuje informacje o niepożądanych działaniach produktu leczniczego, aby w razie potrzeby niezwłocznie podjąć konieczne kroki. Działania te stanowią rutynowe aktywności nadzoru nad bezpieczeństwem farmakoterapii.

## **II.A Lista istotnych zagrożeń i brakujących informacji**

Istotne ryzyka związane ze stosowaniem produktu leczniczego Miglustat Waymade to ryzyka, które wymagają specjalnych działań z zakresu zarządzania ryzykiem, w celu dalszego zbadania lub podjęcia kroków minimalizujących ryzyko, w taki sposób żeby produkt leczniczy mógł być bezpiecznie przyjmowany. Istotne ryzyka mogą odnosić się do ryzyka zidentyfikowanego lub potencjalnego. Zidentyfikowane ryzyka odnoszą się do sytuacji, w których w wystarczający sposób możemy udowodnić zależność ryzyka od stosowania produktu Miglustat Waymade. Potencjalne ryzyka odnoszą się do sytuacji, w których związek zagrożenia ze stosowaniem leku jest oceniany jako możliwy, po wzięciu pod uwagę dostępnych danych, ale ten związek nie jest dotychczas w pełni ustalony i wymaga dalszej oceny. Brakujące informacje odnoszą się do informacji dotyczących bezpieczeństwa stosowania leku, których obecnie brakuje i wymagają zgromadzenia niezbędnych danych (np. dotyczące bezpieczeństwa podczas długotrwałego stosowania leku).

<b>Lista istotnych zagrożeń i brakujących informacji</b>	
Istotne zidentyfikowane ryzyka	Brak
Istotne potencjalne ryzyka	Brak
Brakujące informacje	Brak

## **II.B Podsumowanie informacji o istotnych ryzykach**

Informacja dotyczące bezpieczeństwa zawarta w proponowanej informacji o produkcie leczniczym jest zgodna z informacją dla referencyjnego produktu leczniczego.

## **II.C Plan przewidywanego rozwoju po dopuszczeniu produktu do obrotu**

### **II.C.1 Badania, których przeprowadzenie stanowi warunek uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego**

Brak badań stanowiących warunek dopuszczenia produktu leczniczego do obrotu lub będących wynikiem specyficznych zobowiązań dotyczących produktu leczniczego Miglustat Waymade.

### **II.C.2 Inne badania porejstracyjne uwzględnione w planie rozwoju produktu leczniczego**

Brak badań, których przeprowadzenie jest wymagane w odniesieniu do produktu leczniczego Miglustat Waymade.