



معاونت درمان

راهنمای تجویز داروی

میگلوستات

Miglustat

زمستان ۱۴۰۲

تنظیم و تدوین اولیه : تنظیم و تدوین اولیه :

- ۱- دکتر علی طالع فوق تخصص غدد و متابولیسم کودکان پژوهشگر مرکز تحقیقات اختلالات متابولیک پژوهشگاه غدد و متابولیسم تهران
- ۲- دکتر پروانه کریم زاده (استاد مغز و اعصاب کودکان دانشگاه علوم پزشکی شهید بهشتی)
- ۳- دکتر محمود رضا اشرفی زاده (استاد مغز و اعصاب کودکان دانشگاه علوم پزشکی تهران)
- ۴- دکتر فرزاد احمدآبادی (دانشیار مغز و اعصاب کودکان دانشگاه علوم پزشکی شهید بهشتی)
- ۵- دکتر پرستور ستمی فوق تخصص غدد و متابولیسم کودکان دانشیار دانشگاه علوم پزشکی تهران
- ۶- دکتر علی طالع فوق تخصص غدد و متابولیسم کودکان پژوهشگر مرکز تحقیقات اختلالات متابولیک پژوهشگاه غدد و متابولیسم تهران
- ۷- دکتر محمد وفائی شاهی عضو هیئت مدیره انجمن علمی نور و متابولیک کشور

تاییدیه نهایی:

دکتر ربانی دبیر بورد رشته فوق تخصصی غدد و متابولیسم کودکان
دکتر بدو رییس انجمن علمی نوروزنتیک ایران
دکتر اشرفی رییس انجمن علمی نور و متابولیک ایران
دکتر محمدی انجمن علمی اعصاب اطفال ایران

تحت نظر :

دکتر سعید کریمی عضو هیات علمی دانشگاه علوم پزشکی شهید بهشتی و معاون محترم درمان
مشاور: دکتر ساناز بخشنده رییس گروه تدوین استاندارد و راهنمای بالینی معاونت درمان

تحت نظارت فنی:

گروه تدوین استاندارد و راهنمای بالینی
دفتر ارزیابی فن آوری، تدوین استاندارد و تعرفه سلامت

بسمه تعالی
راهنمای تجویز دارو

نام دارو	محل تجویز و کاربرد دارو	افراد صاحب صلاحیت جهت تجویز	منع مصرف	اندیکاسیون	دوز و تواتر مصرف دارو	شرایط تجویز
میگلوستات کپسول خوراکی mg ۱۰۰	بستری سرپایی	متخصص مغز و اعصاب فوق تخصص نورولوژی اطفال فوق تخصص غدد کودکان	برای مصرف این دارو گزارش نشده است مصرف این دارو گزارش نشده است. -نارسائی شدید کلیوی -بارداری	بیماری گوشه، تایپ ۱ و ۳	<u>بزرگسالان</u> - خوراکی: mg ۱۰۰ سه بار در روز؛	در صورت بروز عوارض جانبی (مثل؛ ترمور، اسهال) به mg ۱۰۰ یک تا دو بار در روز کاهش داد.
				بیماری Niemann-Pick تایپ C (off-label use)	<u>-بزرگسالان و کودکان با سن بالای ۱۲ سال:</u> خوراکی: mg ۲۰۰ سه بار در روز - <u>در کودکان زیر ۱۲ سال:</u> بر اساس سطح بدن (BSA) : BSA- < ۱,۲۵ m ² : mg ۲۰۰ سه بار در روز BSA- < ۰,۸۸ m ² تا ۱,۲۵ m ² : mg ۲۰۰ دو بار در روز	-میگلوستات سنتز گلیکولیپیدها را مهار می کند و ممکن است پیشرفت تظاهرات عصبی NPD-C را در کودکان بدون علائم عصبی شدید در شروع درمان به تأخیر بیندازد. بنابراین درمان برای بیماران مبتلا به تظاهرات بیماری عصبی، شناختی یا سایکولوژیک توصیه می شود -ولی این دارو نباید برای بیمارانی که تظاهرات عصبی ندارند، تجویز شود،

نام دارو	محل تجویز و کاربرد دارو	افراد صاحب صلاحیت جهت تجویز	منع مصرف	اندیکاسیون	دوز و تواتر مصرف دارو	شرایط تجویز
					<p>BSA-$<0.73 \text{ m}^2$ تا 0.88 m^2: 100 mg سه بار در روز</p> <p>BSA-$<0.47 \text{ m}^2$ تا 0.73 m^2: 100 mg دو بار در روز</p> <p>BSA-$\geq 0.47 \text{ m}^2$: روزانه 100 mg یک بار در روز</p>	<p>زیرا برخی از آنها برای مدت طولانی بدون علامت هستند.</p> <p>-از طرف دیگر در بیمارانی که درگیری پیشرفته عصبی و دمانس دارند، این درمان توصیه نشده است.</p> <p>-زمان مطلوب برای شروع درمان به محض ظهور هر گونه تظاهرات عصبی است.</p> <p>- در کودکان: کاهش رشد، هم قد و هم وزن، گزارش شده. در ابتدای درمان بامیگلوستات کاهش وزن مشاهده میشود که ممکن است در ادامه با کاهش رشد قد همراه باشد.</p> <p>قد و وزن را پایش کنید و ارزش درمان با میگلوستات را به صورت دوره ای ارزیابی کنید.</p>

نام دارو	محل تجویز و کاربرد دارو	افراد صاحب صلاحیت جهت تجویز	منع مصرف	اندیکاسیون	دوز و تواتر مصرف دارو	شرایط تجویز

• اقدامات مورد نیاز قبل از تجویز دارو (اقدامات پاراکلینیک و ...)

• توصیه ها :

- در اختلالات کبدی منع مصرف و یا نیاز به تنظیم دوز ندارد.
- در اختلالات کلیوی نیاز به تنظیم دوز یا قطع منع مصرف است.

• عوارض دارویی:

۱- عوارض با شیوع بیش از ۰.۱ درصد:

- گوارشی: درد شکم، اسهال، نفخ شکم، تهوع و استفراغ

-عصبی: آستنی، سر گیجه، سردرد، ترمور

-عضلات: کرامپ های عضلانی

-چشمی: اختلالات بینایی

۲-عوارض با شیوع ۱ تا ۱۰ درصد:

-گوارشی: اتساع شکم، بی اشتها، یبوست، سوء هاضمه، در اچی گاستر، گزروستومی

-هماتولوژیک: ترومبوسیتوپنی

-اسکلتی: در پشت

-عصبی: سایکوز

- اسهال: مانند کاهش وزن، در بسیاری از بیماران مشاهده شده (در ۱۲ ماه اول درمان). در صورت ادامه درمان اسهال به مرور زمان کاهش میابد و ممکن است با رژیم غذایی (کاهش سوکروز و لاکتوز و سایر کربوهیدرات های دریافتی) پاسخ دهد. میگلوستات را بین وعده های غذایی و/یا با داروهای ضد اسهال (لوپرامید) مصرف کنید. اگر با کاهش کربوهیدرات علائم ادامه یافت، بیماران را از نظر بیماری زمینه ای دستگاه گوارش بررسی کنید. و هر ۶ هفته ارزیابی گوارشی انجام دهید.
- نوروپاتی محیطی: نیاز به پایش علائم نورولوژیک هر ۶ هفته میباشد. در صورت بروز علائم (به عنوان مثال؛ بی حسی و سوزن سوزن شدن) خطر را با فواید درمان بسنجید زیرا ممکن است قطع درمان ضروری باشد.
- کاهش تعداد پلاکت: در طول درمان پایش شود. زیرا در صورت بروز ممکن است نیاز به تغییر درمان باشد.
- ترمور: میتواند باعث شروع جدید یا تشدید ترمور قبلی شود. ترمور معمولا در ماه اول درمان شروع میشود و ممکن است طی زمان (۱-۳ ماه) برطرف شود یا به کاهش دوز پاسخ دهد. اگر ترمور طی چند روز پس از کاهش دوز پاسخ ندهد، ممکن است قطع درمان ضروری باشد.
- اگر بیمار قادر به بلعیدن کپسول نیست، پودر را دقیقا قبل از مصرف در مایعات مورد نظر مخلوط کنید (محلول آماده قابل نگهداری نمیشود). در بارداری توصیه نمیشود.
- در صورتی مصرف دارو توسط مادر شیردهی نیز توصیه نمیشود.

• منابع:

UPTODATE

1. Vanier MT. Niemann-pick disease type C. Orphanet J Rare Dis. 2010;5:16.
2. Carstea ED, Morris JA, Coleman KG, Loftus SK, Zhang D, Cummings C, et al. Niemann-pick C1 disease gene: homology to mediators of cholesterol homeostasis. Science. 1997;277:228–31.
3. Naureckiene S, Sleat DE, Lackland H, Fensom A, Vanier MT, Wattiaux R, et al. Identification of HE1 as the second gene of Niemann-pick C disease. Science. 2000;290:2298–301.
4. Hendriksz CJ, Anheim M, Bauer P, Bonnot O, Chakrapani A, Corvol JC, et al. The hidden Niemann-pick type C patient: clinical niches for a rare inherited metabolic disease. Curr Med Res Opin. 2017;33:877–90.
- 5) Hanna alboaydi. Recent Advances in the Diagnosis and Treatment of Niemann-Pick Disease Type C in Children: A Guide to Early Diagnosis for the General Pediatrician . International Journal of Pediatrics Volume 2015, Article ID 816593, 10 pages
<http://dx.doi.org/10.1155/2015/816593>
- 6) Parvaneh Karimzadeh, MD1 , Seyed Hassan Tonekaboni, MD1 , Mahmoud Reza Ashrafi et al . Effects of Miglustat on Stabilization of Neurological Disorder in Niemann–Pick Disease Type C: Iranian Pediatric Case Series . Journal of Child Neurology 28(12) 1599-1606^a The Author(s) 2012 Reprints and permission