

Real-world clinical experience with long-term miglustat maintenance therapy in type 1 Gaucher disease: the ZAGAL project.

Giraldo P, Alfonso P, Atutxa K, Fernández-Galán MA, Barez A, Franco R, Alonso D, Martín A, Latre P, Pocovi M.
Haematology Department, Miguel Servet University Hospital, Zaragoza, Spain. pgiraldo@salud.aragon.es

Abstract

There are few published data from real-world **clinical** experience with miglustat (Zavesca), an oral inhibitor of glucosylceramide synthase, in type 1 Gaucher disease. We report data from a prospective, open-label investigational **study** that evaluated substrate reduction therapy with miglustat 100 mg t.i.d. as a maintenance therapy in patients with Type 1 Gaucher disease who had been switched from previous enzyme replacement therapy. Long-term data on changes in organ size, blood counts, disease severity bio-markers, bone marrow infiltration, overall **clinical** status and safety/tolerability were analyzed from 28 patients with Type 1 Gaucher disease who were attending routine clinic visits. Assessments were performed at six, 12, 24, 36 and 48 months of therapy. Disease severity biomarkers improved up to 48 months after initiation of miglustat, while other disease parameters remained stable. Miglustat showed an acceptable profile of safety and tolerability throughout treatment. In conclusion, **miglustat is an effective therapy for the long-term maintenance of patients with Type 1 Gaucher disease previously stabilized with enzyme replacement therapy.**

TRADUCCIÓN

Experiencia clínica a largo plazo de la terapia de mantenimiento con miglustat en la enfermedad de Gaucher tipo 1 en el mundo real: el proyecto Zagal.

Giraldo P, Alfonso P, K Atutxa, Fernández-Galán MA, Barez A, Franco R, Alonso D, Martín A, Latre P Pocovi M.

Servicio de Hematología, Hospital Universitario Miguel Servet, Zaragoza, España. pgiraldo@salud.aragon.es

Resumen

Existen pocos datos publicados de la experiencia clínica en el mundo real con miglustat (Zavesca), un inhibidor oral de la glucosilceramida sintasa, en la enfermedad de Gaucher tipo 1. Se presentan los datos de un estudio prospectivo, abierto, en pacientes con enfermedad de Gaucher Tipo 1, que habían recibido terapia enzimática sustitutiva y se les había cambiado a la terapia de reducción sustrato con Miglustat 100 mg, tres veces al día, como terapia de mantenimiento. En 28 pacientes con la enfermedad de Gaucher tipo 1 que asistían a las visitas de rutina clínica se analizaron los datos a largo plazo del cambio en el tamaño de los órganos, analítica sanguínea, biomarcadores de gravedad de la enfermedad, infiltración de la médula ósea, el estado clínico global, así como la seguridad/tolerabilidad. Las evaluaciones se realizaron a los 6, 12, 24, 36 y 48 meses de tratamiento. Los biomarcadores de gravedad de la enfermedad mejoraron durante los 48 meses siguientes al inicio de miglustat, manteniéndose estables los otros parámetros de la enfermedad. Miglustat mostró un perfil de seguridad aceptable durante el tratamiento. En conclusión, **miglustat es un tratamiento eficaz para el mantenimiento a largo plazo de pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1 previamente estabilizados con terapia enzimática sustitutiva.**