



تاریخ: ۱۴۰۲/۱۰/۳۰

شماره: ۲۸/۳۶/۱۹۵۴۲۳

پیوست: دارد

۱۳:۰۶

رییس محترم مرکز آموزشی درمانی بوعلی سینا، ولایت، قدس، کوثر، رجایی، ۲۲ بهمن
رییس محترم بیمارستان رحیمیان، شهدا
سرپرست محترم بیمارستان شفا، امیرالمومنین (ع)
رییس محترم بیمارستان تامین اجتماعی رازی، ناکستان
رییس محترم بیمارستان خصوصی دهخدا، پاستور، مهرگان، ولیعصر آبیگ
رییس محترم سازمان نظام پزشکی قزوین، البرز، ناکستان، آبیگ، بوئین زهرا

با سلام و احترام

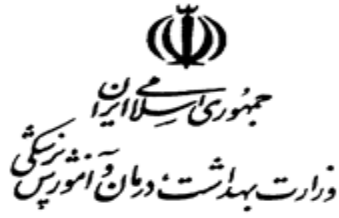
به پیوست نامه شماره ۴۰۰/۲۸۰۰۱ تاریخ ۱۴۰۲/۱۰/۲۷ معاون محترم درمان وزارت متبوع در خصوص
ابلاغ راهنمای تجویز داروی Miglustat جهت استحضار ارسال می‌گردد. ضمناً دستیابی به راهنمای مذکور از
طریق پورتال معاونت درمان به آدرس ذیل امکان‌پذیر می‌باشد.

استانداردهای دارو / استانداردها و راهنماهای بالینی / دسترسی سریع / vct.qums.ac.ir

دکتر عبدالله کشاورز
معاون درمان دانشگاه

رونوشت:

۱. مدیر کل محترم بیمه سلامت استان، جهت استحضار
۲. سرپرست محترم مدیریت درمان تامین اجتماعی استان، جهت استحضار
۳. مدیر کل محترم تامین اجتماعی نیروهای مسلح استان، جهت استحضار



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 ۱۰۰ mg	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 بیماری Niemann-Pick تایپ C (off-label use)	<u>بزرگسالان</u> - خوراکی: ۱۰۰ mg سه بار در روز؛	در صورت بروز عوارض جانبی (مثل؛ ترمور، اسهال) به ۱۰۰ mg یک تا دو بار در روز کاهش داد.
					<u>بزرگسالان و کودکان با سن بالای ۱۲ سال</u> : خوراکی: ۲۰۰ mg سه بار در روز - در کودکان زیر ۱۲ سال: بر اساس سطح بدن (BSA): -BSA < ۱,۲۵ m ² : ۲۰۰ mg سه بار در روز -BSA < ۰,۸۸ m ² تا ۱,۲۵ m ² : ۲۰۰ mg 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>$BSA < 0.73 m^2$ تا $0.88 m^2$: $100 mg$ سه بار در روز</p> <p>$BSA < 0.47 m^2$ تا $0.73 m^2$: $100 mg$ دو بار در روز</p> <p>$BSA \geq 0.47 m^2$: 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 ۰۱ 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 اشتهايي، یبوست، سوء هاضمه، در اچي 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