

EMA/335910/2019
EMA/H/C/004904

Miglustat Dipharma (*miglustat*)

En oversigt over Miglustat Dipharma, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Miglustat Dipharma, og hvad anvendes det til?

Miglustat Dipharma anvendes til behandling af to arvelige sygdomme, der påvirker den måde, kroppen håndterer fedt på. Begge sygdomme forårsager en ophobning af fedtstoffer, der kaldes glycosphingolipider i kroppen. Miglustat Dipharma anvendes til behandling af følgende patienter:

- voksne (på 18 år og derover) med let til moderat Gauchers sygdom type 1. Patienter med denne sygdom mangler et enzym kaldet glucocerebrosidase. Det medfører, at et glycosphingolipid kaldet glucosylceramid ophobes flere steder i kroppen, f.eks. i milten, leveren og knoglerne. Miglustat Dipharma anvendes til patienter, der ikke kan få standardbehandlingen enzymerstatningsbehandling (ERT)
- patienter i alle aldre med Niemann-Pick type C-sygdom, en potentielt dødelig sygdom, hvor glycosphingolipider ophobes i celler i hjernen og andre steder i kroppen. Miglustat Dipharma anvendes til behandling af de neurologiske symptomer på sygdommen (symptomer, der påvirker hjernen og nerverne). Disse omfatter bl.a. tab af koordinationsevne, problemer med "sakkadiske" (hurtige) øjenbevægelser, der kan føre til nedsat syn, forsinket udvikling, synkebesvær, nedsat muskeltonus, anfald og indlæringsvanskeligheder.

Miglustat Dipharma er et "generisk lægemiddel". Det betyder, at Miglustat Dipharma indeholder det samme aktive stof og virker på samme måde som et "referencelægemiddel", som allerede er godkendt i EU, og som hedder Zavesca. Der kan indhentes yderligere oplysninger om generiske lægemidler i dokumentet med spørgsmål og svar [her](#).

Hvordan anvendes Miglustat Dipharma?

Miglustat Dipharma fås som kapsler (100 mg), der tages gennem munden. Den anbefalede startdosis til Gauchers sygdom type 1 er én kapsel tre gange dagligt. Til Niemann-Picks sygdom type C er det to kapsler tre gange dagligt for patienter i alderen 12 år og derover. Til yngre patienter afhænger dosis af højde og vægt. Miglustat Dipharma er beregnet til langtidsbehandling.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Lægemidlet udleveres kun efter recept, og behandlingen bør følges af læger med erfaring i håndtering af Gauchers sygdom.

For mere information om brug af Miglustat Dipharma, se indlægssedlen eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Miglustat Dipharma?

Det aktive stof i Miglustat Dipharma, miglustat, blokerer virkningen af enzymet glucosylceramidsyntase. Dette enzym har betydning for det første trin i dannelsen af glucosylceramid. Ved at forhindre enzymet i at virke kan miglustat mindske produktionen af glucosylceramid i cellerne og derved reducere symptomerne på Gauchers sygdom, type 1.

Hvordan blev Miglustat Dipharma undersøgt?

Der er allerede foretaget studier over det aktive stofs fordele og risici ved godkendt brug med referencelægemidlet Zavesca, og de behøver ikke blive gentaget for Miglustat Dipharma.

Som for alle lægemidler har virksomheden leveret studier vedrørende kvaliteten af Miglustat Dipharma. Virksomheden har også udført et studie, der har vist, at det er "bioækvivalent" med referencelægemidlet. To lægemidler er bioækvivalente, når de giver de samme niveauer af det aktive stof i kroppen, og de forventes derfor at have samme effekt.

Hvilke fordele og risici er der forbundet med Miglustat Dipharma?

Da Miglustat Dipharma er et generisk lægemiddel, og er bioækvivalent med referencelægemidlet, anses dets fordele og risici for at være de samme som for referencelægemidlet.

Hvorfor blev Miglustat Dipharma godkendt i EU?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at det i overensstemmelse med EU's krav er påvist, at Miglustat Dipharma er af sammenlignelig kvalitet og er bioækvivalent med Zavesca. Det var derfor agenturets opfattelse, at fordelene ved Miglustat Dipharma opvejer de identificerede risici som for Zavesca, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Miglustat Dipharma?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Miglustat Dipharma.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brug af Miglustat Dipharma løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Miglustat Dipharma vurderes omhyggeligt, og der tages nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Miglustat Dipharma

Miglustat Dipharma fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 18. februar 2019.

Yderligere information om Miglustat Dipharma findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. Information om referencelægemidlet findes også på agenturets websted.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 06-2019.