

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

Miglustat Dipharma (*Miglustat*)

Übersicht über Miglustat Dipharma und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Miglustat Dipharma und wofür wird es angewendet?

Miglustat Dipharma wird zur Behandlung von zwei Erbkrankheiten angewendet, die sich auf die Art und Weise auswirken, wie der Körper Fett verarbeitet. Beide Krankheiten führen zu einer Ansammlung von Fettstoffen, sogenannten Glycosphingolipiden, im Körper. Miglustat Dipharma wird zur Behandlung folgender Patienten angewendet:

- Erwachsene (ab 18 Jahren) mit leichter bis mittelschwerer Gaucher-Krankheit des Typs 1. Patienten mit dieser Krankheit fehlt ein Enzym namens Glucocerebrosidase, was zur Ansammlung eines Glycosphingolipids, des sogenannten Glucosylceramids, in verschiedenen Teilen des Körpers wie z. B. Milz, Leber und Knochen führt. Miglustat Dipharma wird bei Patienten angewendet, für die die Standardbehandlung der Enzym-Ersatztherapie (ERT) nicht geeignet ist.
- Patienten jedes Alters, die an der Niemann-Pick-Krankheit des Typs C leiden, einer potenziell tödlichen Krankheit, bei der sich Glykosphingolipide in den Gehirnzellen und in anderen Teilen des Körpers ansammeln. Miglustat Dipharma wird zur Behandlung der neurologischen Symptome der Krankheit (Symptome, die das Gehirn und die Nerven betreffen) angewendet. Zu diesen Symptomen zählen Koordinationsverlust, Probleme mit „sakkadischen“ (ruckartigen) Augenbewegungen, die zu Sehstörungen führen können, verzögerte Entwicklung, Schluckbeschwerden, verminderter Muskeltonus, Krämpfe und Lernschwierigkeiten.

Miglustat Dipharma ist ein „Generikum“. Dies bedeutet, dass Miglustat Dipharma den gleichen Wirkstoff enthält und auf gleiche Weise wirkt, wie ein in der EU bereits zugelassenes Referenzarzneimittel mit dem Namen Zavesca. Weitere Informationen über Generika finden Sie in dem Frage- und Antwort-Dokument [hier](#).

Wie wird Miglustat Dipharma angewendet?

Miglustat Dipharma ist in Form von 100 mg-Kapseln zum Einnehmen erhältlich. Die empfohlene Anfangsdosis beträgt bei der Gaucher-Krankheit des Typs 1 eine Kapsel dreimal täglich. Bei der Niemann-Pick-Krankheit des Typs CC sind es bei Patienten ab 12 Jahren zwei Kapseln dreimal täglich;

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



bei jüngeren Patienten richtet sich die Dosis nach dem Körpergewicht und der Körpergröße. Miglustat Dipharma ist zur Langzeitbehandlung bestimmt.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Therapie sollte von einem Arzt überwacht werden, der über Erfahrung mit der Behandlung der Gaucher-Krankheit verfügt.

Weitere Informationen zur Anwendung von Miglustat Dipharma entnehmen Sie der Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Miglustat Dipharma?

Der Wirkstoff in Miglustat Dipharma, Miglustat, blockiert ein Enzym namens Glucosylceramid-Synthase. Dieses Enzym ist am ersten Schritt der Bildung von Glucosylceramid beteiligt. Indem es die Wirkung des Enzyms unterbindet, kann Miglustat die Bildung von Glucosylceramid in den Zellen verringern und somit die Symptome der Gaucher-Krankheit des Typs 1 mildern.

Wie wurde Miglustat Dipharma untersucht?

Studien zu Nutzen und Risiken des Wirkstoffs bei Gaucher-Krankheit wurden bereits mit dem Referenzarzneimittel Zavesca durchgeführt und müssen für Miglustat Dipharma nicht wiederholt werden.

Wie für jedes Arzneimittel, hat das Unternehmen Studien zur Qualität von Miglustat Dipharma vorgelegt. Das Unternehmen hat ebenfalls eine Studie durchgeführt, die ergab, dass Miglustat Dipharma mit dem Referenzarzneimittel bioäquivalent ist. Zwei Arzneimittel sind bioäquivalent, wenn sie die gleichen Wirkstoffspiegel im Körper bewirken und daher zu erwarten ist, dass sie die gleiche Wirkung haben.

Welcher Nutzen und welche Risiken sind mit Miglustat Dipharma verbunden?

Da Miglustat Dipharma ein Generikum und mit dem Referenzarzneimittel bioäquivalent ist, wird davon ausgegangen, dass es den gleichen Nutzen und die gleichen Risiken wie das Referenzarzneimittel aufweist.

Warum wurde Miglustat Dipharma in der EU zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass gemäß den Anforderungen der EU für Miglustat Dipharma der Nachweis erbracht wurde, dass es eine mit Zavesca vergleichbare Qualität aufweist und mit Zavesca bioäquivalent ist. Die Agentur war daher der Ansicht, dass wie bei Zavesca der Nutzen von Miglustat Dipharma gegenüber den festgestellten Risiken überwiegt, und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Miglustat Dipharma ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Miglustat Dipharma, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Miglustat Dipharma kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Miglustat Dipharma werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Miglustat Dipharma

Miglustat Dipharma erhielt am 18. Februar 2019 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Miglustat Dipharma finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. Informationen zum Referenzarzneimittel finden Sie ebenfalls auf den Internetseiten der Agentur.

Diese Übersicht wurde zuletzt im 06-2019 aktualisiert.