



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/335911/2019  
EMA/H/C/004366

## Miglustat Gen.Orph (*Miglustat*)

Übersicht über Miglustat Gen.Orph und warum es in der EU zugelassen ist

### Was ist Miglustat Gen.Orph und wofür wird es angewendet?

Miglustat Gen.Orph wird zur Behandlung von zwei Erbkrankheiten angewendet, die sich auf die Art und Weise auswirken, wie der Körper Fett verarbeitet. Beide Krankheiten verursachen eine Ansammlung von Fettstoffen im Körper, den sogenannten Glycosphingolipiden. Miglustat Gen.Orph wird zur Behandlung der folgenden Patienten angewendet:

- Erwachsene (ab einem Alter von 18 Jahren) mit leichter bis mittelschwerer Gaucher-Krankheit des Typs 1. Patienten mit dieser Krankheit fehlt ein als Glucocerebrosidase bezeichnetes Enzym, das zur Ansammlung eines Glycosphingolipids, des sogenannten Glucosylceramids, in verschiedenen Teilen des Körpers, wie Milz, Leber und Knochen, führt. Miglustat Gen.Orph wird bei Patienten angewendet, die für eine Standard-Enzymersatzbehandlung (ERT) nicht infrage kommen;
- Patienten aller Altersgruppen mit Niemann-Pick-Krankheit des Typs C, einer potenziell tödlich verlaufenden Erkrankung, bei der sich Glycosphingolipide in den Zellen des Gehirns und in anderen Bereichen des Körpers ansammeln. Miglustat Gen.Orph wird zur Behandlung der neurologischen Symptome der Erkrankung (Symptome, die das Gehirn und die Nerven betreffen) angewendet. Dazu gehören Koordinationsverlust, Probleme mit „sakkadischen“ (ruckartigen) Augenbewegungen, die zu Sehstörungen führen können, verzögerte Entwicklung, Schluckbeschwerden, verminderter Muskeltonus, Krämpfe und Lernschwierigkeiten.

Miglustat Gen.Orph ist ein „Generikum“. Dies bedeutet, dass Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph angewendet?

Miglustat Gen.Orph ist in Form von 100 mg-Kapseln zum Einnehmen erhältlich. Die empfohlene Anfangsdosis bei der Gaucher-Krankheit des Typs 1 ist eine Kapsel dreimal täglich. Bei der Niemann-Pick-Krankheit des Typs C bei Patienten ab 12 Jahren sind es zwei Kapseln dreimal täglich; bei jüngeren Patienten richtet sich die Dosis nach dem Körpergewicht und der Körpergröße. Miglustat Gen.Orph ist zur Langzeitbehandlung bestimmt.

---

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom  
**Telephone** +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555  
**Send a question via our website** [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



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

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

### **Wie wirkt Miglustat Gen.Orph?**

Der Wirkstoff in Miglustat Gen.Orph, 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 und damit die Symptome der Gaucher-Krankheit des Typs 1 verringern.

### **Wie wurde Miglustat Gen.Orph untersucht?**

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

Wie bei jedem Arzneimittel legte das Unternehmen Studien zur Qualität von Miglustat Gen.Orph vor. Das Unternehmen hat ebenfalls eine Studie durchgeführt, die ergab, dass Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph verbunden?**

Da Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph in der EU zugelassen?**

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass gemäß den Anforderungen der EU für Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph ergriffen?**

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Miglustat Gen.Orph, 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 Gen.Orph kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Miglustat Gen.Orph werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

## Weitere Informationen über Miglustat Gen.Orph

Miglustat Gen.Orph erhielt am 10. November 2017 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Miglustat Gen.Orph finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph). Informationen zum Referenzarzneimittel finden Sie ebenfalls auf den Internetseiten der Agentur.

Diese Übersicht wurde zuletzt im 06-2019 aktualisiert.