

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

Miglustat Dipharma (*miglustat*)

Aperçu de Miglustat Dipharma et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Miglustat Dipharma et dans quel cas est-il utilisé?

Miglustat Dipharma est utilisé pour traiter deux maladies héréditaires qui affectent la manière dont l'organisme gère les graisses. Ces deux maladies provoquent une accumulation de substances grasses appelées glycosphingolipides dans le corps. Miglustat Dipharma est utilisé pour le traitement des patients suivants:

- adultes (âgés d'au moins 18 ans) atteints de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée. Les patients atteints de cette maladie ne présentent pas d'enzyme appelée glucocérébrosidase, laquelle se traduit par un glycosphingolipide appelé glucosylcéramide dans différentes parties du corps, comme la rate, le foie et les os. Miglustat Dipharma est utilisé chez les patients qui ne peuvent pas recevoir le traitement standard par thérapie de remplacement enzymatique (ERT);
- patients de tous âges atteints de maladie de Niemann-Pick de type C, une maladie potentiellement mortelle dans laquelle les glycosphingolipides s'accumulent dans les cellules du cerveau et ailleurs dans le corps. Miglustat Dipharma est utilisé pour traiter les symptômes neurologiques de la maladie (symptômes affectant le cerveau et les nerfs), notamment: la perte de coordination, les problèmes liés à des mouvements oculaires «saccadés» (rapides) qui peuvent conduire à une déficience visuelle, des retards de développement, des difficultés à avaler, une diminution du tonus musculaire, des crises et des difficultés d'apprentissage.

Miglustat Dipharma est un «médicament générique». Cela signifie qu'il contient la même substance active et fonctionne de la même manière qu'un «médicament de référence» déjà autorisé dans l'Union européenne (UE), à savoir Zavesca. Pour de plus amples informations sur les médicaments génériques, voir le document sous forme de questions/réponses disponible [ici](#).

Comment Miglustat Dipharma est-il utilisé?

Miglustat Dipharma est disponible sous la forme de gélules de 100 mg à prendre par voie orale. La dose initiale recommandée pour la maladie de Gaucher de type 1 est d'une gélule trois fois par jour.

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



Pour la maladie de Niemann-Pick de type C, la dose est de deux gélules trois fois par jour chez les patients âgés de 12 ans et plus; chez les patients plus jeunes, la dose dépend du poids et de la taille. Miglustat Dipharma est destiné à une utilisation à long terme.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être supervisé par des médecins expérimentés dans la prise en charge de la maladie de Gaucher.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Miglustat Dipharma, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Miglustat Dipharma agit-il?

La substance active de Miglustat Dipharma, le miglustat, bloque une enzyme appelée glucosylcéramide synthase. Cette enzyme est impliquée dans la première étape de la production de glucosylcéramide. En empêchant l'enzyme d'agir, le miglustat peut réduire la production de glucosylcéramide dans les cellules, diminuant ainsi les symptômes de la maladie de Gaucher de type 1.

Quelles études ont été menées sur Miglustat Dipharma?

Des études sur les bénéfices et les risques de la substance active dans l'utilisation approuvée ont déjà été réalisées avec le médicament de référence, à savoir Zavesca, et il n'est pas nécessaire de les répéter pour Miglustat Dipharma.

Comme pour chaque médicament, la société a fourni des études sur la qualité de Miglustat Dipharma. La société a également réalisé une étude qui a démontré qu'il est «bioéquivalent» au médicament de référence. Deux médicaments sont bioéquivalents lorsqu'ils produisent les mêmes niveaux de substance active dans l'organisme, avec le même effet attendu.

Quels sont les bénéfices démontrés par Miglustat Dipharma et quels sont les risques associés à son utilisation?

Étant donné que Miglustat Dipharma est un médicament générique et qu'il est bioéquivalent au médicament de référence, ses bénéfices et risques sont considérés comme étant les mêmes que ceux du médicament de référence.

Pourquoi Miglustat Dipharma est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a conclu que, conformément aux exigences de l'UE, il a été démontré que Miglustat Dipharma est de qualité comparable à celle de Zavesca et bioéquivalent à ce dernier. Dès lors, l'Agence a estimé que, comme pour Zavesca, le bénéfice de Miglustat Dipharma est supérieur au risque identifié, et que son utilisation au sein de l'UE peut être autorisée.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Miglustat Dipharma?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Miglustat Dipharma ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Miglustat Dipharma sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Miglustat Dipharma sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Miglustat Dipharma:

Miglustat Dipharma a reçu une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne, le 18 février 2019.

Des informations sur Miglustat Dipharma sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. De plus amples informations relatives au médicament de référence sont également disponibles sur le site web de l'Agence.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 06-2019.