



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Miglustat Gen.Orph (*miglustat*)

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

### Qu'est-ce que Miglustat Gen.Orph et dans quel cas est-il utilisé?

Miglustat Gen.Orph est utilisé pour traiter deux maladies héréditaires qui affectent la manière dont l'organisme gère les graisses. Les deux maladies provoquent une accumulation de substances grasses appelées glycosphingolipides dans le corps. Miglustat Gen.Orph est utilisé pour traiter les 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, ce qui se traduit par un glycosphingolipide appelé glucosylcéramide qui s'accumule dans différentes parties du corps, comme la rate, le foie et les os. Miglustat Gen.Orph est utilisé chez les patients qui ne peuvent pas recevoir le traitement standard par thérapie de remplacement enzymatique (ERT);
- les patients de tous âges atteints de la 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph est un «médicament générique». Cela signifie que Miglustat Gen.Orph contient la même substance active et agit 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 Gen.Orph est-il utilisé?

Miglustat Gen.Orph 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.



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 Gen.Orph 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 Gen.Orph, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

## **Comment Miglustat Gen.Orph agit-il?**

La substance active de Miglustat Gen.Orph, le miglustat, bloque une enzyme appelée glucosylcéramide synthétase. 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 Gen.Orph?**

Des études sur les bénéfices et les risques de la substance active ont déjà été réalisées avec le médicament de référence, à savoir Zavesca, et il n'est pas nécessaire de les réitérer pour Miglustat Gen.Orph.

Comme pour chaque médicament, la société a fourni des études sur la qualité de Miglustat Gen.Orph. 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 le corps, avec le même effet attendu.

## **Quels sont les bénéfices démontrés par Miglustat Gen.Orph et quels sont les risques associés à son utilisation?**

Étant donné que Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph est supérieur au risque identifié, et que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE peut être autorisée.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Miglustat Gen.Orph?**

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Miglustat Gen.Orph sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

## **Autres informations relatives à Miglustat Gen.Orph:**

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Miglustat Gen.Orph, le 10 novembre 2017.

Des informations sur Miglustat Gen. Orph sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph). 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.