

EMA/88215/2017
EMEA/H/C/004016

Résumé EPAR à l'intention du public

Yargesa

miglustat

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Yargesa. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Yargesa.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Yargesa, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

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

Yargesa est un médicament indiqué dans le traitement des patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée.

Les patients atteints de cette maladie souffrent de l'absence d'une enzyme qui décompose un type de graisse appelé glucosyl-céramide, ce qui a pour conséquence que la glucosyl-céramide s'accumule en différentes parties du corps, comme la rate, le foie et les os. Yargesa est utilisé chez les patients qui ne peuvent pas recevoir une thérapie de remplacement enzymatique.

Yargesa est un «médicament générique». Cela signifie qu'il contient le même principe actif (miglustat) 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 Yargesa est-il utilisé?

Yargesa est disponible en gélules de 100 mg à prendre par voie orale. La dose initiale recommandée est d'une gélule trois fois par jour. Une dose plus faible doit être utilisée pour traiter les patients ayant une fonction rénale réduite et les patients chez qui survient une diarrhée.



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

Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Yargesa agit-il?

Le principe actif de Yargesa, le miglustat, empêche une enzyme, la glucosyl-céramide synthétase, d'agir. Cette enzyme est impliquée dans la première étape de la production de glucosyl-céramide. En empêchant l'enzyme d'agir, le miglustat peut réduire la production de glucosyl-céramide dans les cellules, diminuant ainsi les symptômes de la maladie de Gaucher de type 1.

Quelles études ont été menées sur Yargesa?

Les études sur les bénéfices et les risques du principe actif dans l'utilisation approuvée ont déjà été réalisées avec le médicament de référence, à savoir Zavesca, et il n'est pas nécessaire de les réitérer pour Yargesa.

Comme pour chaque médicament, la société a fourni des études sur la qualité de Yargesa. La société a également mené une étude qui a démontré qu'il est «bioéquivalent» au médicament de référence. Deux médicaments sont bioéquivalents lorsqu'ils produisent les mêmes niveaux de principe actif dans le corps. Ils sont donc censés avoir le même effet.

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

Étant donné que Yargesa 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 Yargesa est-il approuvé?

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a conclu que, conformément aux exigences de l'UE, il a été démontré que Yargesa est de qualité comparable à celle de Zavesca et bioéquivalent à ce dernier. Dès lors, le CHMP a estimé que, comme pour Zavesca, le bénéfice est supérieur au risque identifié. Le comité a recommandé que l'utilisation de Yargesa au sein de l'UE soit approuvée.

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

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

Autres informations relatives à Yargesa:

L'EPAR complet relatif à Yargesa est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Yargesa, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

L'EPAR complet relatif au médicament de référence est également disponible sur le site web de l'Agence.