



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Dipharma (*miglustat*)

Sintesi di Miglustat Dipharma e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Miglustat Dipharma e per cosa si usa?

Miglustat Dipharma è usato per trattare due malattie ereditarie che incidono sul modo in cui l'organismo processa i grassi. Entrambe provocano un accumulo nell'organismo di particolari sostanze grasse note come glicosfingolipidi. Miglustat Dipharma è usato nel trattamento dei seguenti pazienti:

- adulti (di età pari o superiore a 18 anni) affetti da malattia di Gaucher tipo 1 da lieve a moderata; i pazienti che ne soffrono sono privi di un enzima denominato glucocerebrosidasi, con conseguente accumulo di un glicosfingolipide noto come glucosilceramide in diverse parti dell'organismo, tra cui milza, fegato e ossa. Miglustat Dipharma è usato in pazienti che non possono essere sottoposti al trattamento standard con terapia di sostituzione enzimatica (ERT);
- pazienti di tutte le età affetti da malattia di Niemann-Pick tipo C, una malattia potenzialmente letale caratterizzata dall'accumulo di glicosfingolipidi nelle cellule cerebrali e in altre parti dell'organismo. Miglustat Dipharma è usato per trattare i sintomi neurologici (ossia a carico di cervello e nervi) della malattia, tra cui perdita di coordinazione, problemi legati a movimenti oculari saccadici (rapidi) che possono causare la compromissione della visione, sviluppo ritardato, difficoltà di deglutizione, tono muscolare ridotto, convulsioni e difficoltà di apprendimento.

Miglustat Dipharma è un "medicinale generico". Questo significa che Miglustat Dipharma contiene lo stesso principio attivo e agisce allo stesso modo di un "medicinale di riferimento", già autorizzato nell'UE, denominato Zavesca. Per maggiori informazioni sui medicinali generici, consultare le domande e le risposte cliccando [qui](#).

Come si usa Miglustat Dipharma?

Miglustat Dipharma è disponibile in capsule da 100 mg da assumere per via orale. La dose iniziale consigliata in caso di malattia di Gaucher tipo 1 è di una capsula tre volte al giorno. In caso di malattia di Niemann-Pick tipo C, la dose è di due capsule tre volte al giorno per i pazienti di età pari o superiore

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



a 12 anni; in pazienti più giovani, la dose dipende dal peso e dall'altezza. Miglustat Dipharma è indicato per l'uso a lungo termine.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere monitorato da medici esperti nella gestione della malattia di Gaucher.

Per maggiori informazioni sull'uso di Miglustat Dipharma, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Miglustat Dipharma?

Il principio attivo di Miglustat Dipharma, miglustat, blocca un enzima denominato glucosilceramide sintetasi. Questo enzima è coinvolto nella prima fase della produzione del glucosilceramide. Impedendogli di agire, miglustat può ridurre la produzione del glucosilceramide nelle cellule e alleviare in tal modo i sintomi della malattia di Gaucher tipo 1.

Quali studi sono stati effettuati su Miglustat Dipharma?

Studi riguardo ai benefici e ai rischi del principio attivo nella malattia di Gaucher sono già stati effettuati per il medicinale di riferimento, Zavesca, e non è necessario ripeterli per Miglustat Dipharma.

Come per ogni medicinale, la ditta ha fornito studi sulla qualità di Miglustat Dipharma. Inoltre, ha effettuato uno studio che ha dimostrato la "bioequivalenza" di Miglustat Dipharma rispetto al medicinale di riferimento. Due medicinali sono bioequivalenti quando determinano gli stessi livelli di principio attivo nell'organismo e ci si aspetta pertanto che abbiano lo stesso effetto.

Quali sono i benefici e i rischi di Miglustat Dipharma?

Poiché Miglustat Dipharma è un medicinale generico ed è bioequivalente al medicinale di riferimento, i suoi benefici e rischi sono considerati uguali a quelli del medicinale di riferimento.

Perché Miglustat Dipharma è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha concluso che, conformemente ai requisiti dell'UE, Miglustat Dipharma ha mostrato di possedere una qualità paragonabile e di essere bioequivalente a Zavesca. Pertanto, l'Agenzia ha ritenuto che, come nel caso di Zavesca, il beneficio di Miglustat Dipharma sia superiore al rischio individuato e il suo uso possa essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Miglustat Dipharma?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Miglustat Dipharma sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Miglustat Dipharma sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Miglustat Dipharma sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Miglustat Dipharma

Miglustat Dipharma ha ricevuto una autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 18 febbraio 2019.

Ulteriori informazioni su Miglustat Dipharma sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. Anche le informazioni sul medicinale di riferimento si trovano sul sito web dell'Agenzia.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 06-2019.