



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustat*)

Sintesi di Miglustat Gen.Orph e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Miglustat Gen.Orph e per cosa si usa?

Miglustat Gen.Orph è usato per il trattamento di 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 Gen.Orph è usato per il trattamento dei seguenti pazienti:

- adulti (di età pari o superiore a 18 anni) con malattia di Gaucher di tipo 1 da lieve a moderata. I pazienti che ne sono affetti presentano una carenza di un enzima denominato glucocerebrosidasi, che provoca l'accumulo di un glicosfingolipide noto come glucosilceramide in diverse parti dell'organismo, tra cui milza, fegato e ossa. Miglustat Gen.Orph è usato in pazienti che non possono essere sottoposti al trattamento standard con terapia di sostituzione enzimatica (ERT);
- pazienti di tutte le età con malattia di Niemann-Pick di tipo C, una malattia potenzialmente letale caratterizzata dall'accumulo di glicosfingolipidi nelle cellule cerebrali e in altre parti dell'organismo. Miglustat Gen.Orph è usato per il trattamento dei 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 Gen.Orph è un "medicinale generico". Questo significa che Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph?

Miglustat Gen.Orph è disponibile in capsule da 100 mg da assumere per via orale. In caso di malattia di Gaucher di tipo 1, la dose iniziale consigliata è di una capsula tre volte al giorno. In caso di malattia di Niemann-Pick di tipo C, è di due capsule tre volte al giorno per i pazienti di età pari o superiore a 12 anni; nei pazienti più giovani la dose dipende dal peso e dall'altezza. Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Miglustat Gen.Orph?

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

Quali studi sono stati effettuati su Miglustat Gen.Orph?

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 Gen.Orph.

Come per ogni medicinale, la ditta ha messo a disposizione studi sulla qualità di Miglustat Gen.Orph. Inoltre, la ditta ha effettuato uno studio che ha mostrato la "bioequivalenza" di Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph?

Poiché Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha concluso che, conformemente ai requisiti dell'UE, Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Miglustat Gen.Orph sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Miglustat Gen.Orph

Miglustat Gen.Orph ha ricevuto una autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 10 novembre 2017.

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 06-2019.