



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustat Dipharma (*miglustaat*)

Een overzicht van Miglustat Dipharma en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Miglustat Dipharma en wanneer wordt het voorgeschreven?

Miglustat Dipharma wordt gebruikt voor de behandeling van twee erfelijke ziekten die van invloed zijn op de manier waarop het lichaam omgaat met vetten. Beide ziekten veroorzaken een stapeling van de vetstoffen glycosfingolipiden in het lichaam. Miglustat Dipharma wordt ingezet bij de volgende patiënten:

- volwassenen (18 jaar en ouder) met een lichte tot matige vorm van de ziekte van Gaucher type 1. Patiënten met deze aandoening hebben een tekort aan het enzym glucocerebrosidase, waardoor een glycosfingolipide met de naam glucosylceramide zich in verschillende delen van het lichaam opstapelt, zoals in de milt, de lever en de botten. Miglustat Dipharma wordt gebruikt bij patiënten die de standaardbehandeling (enzymvervangende therapie) niet kunnen krijgen;
- patiënten van alle leeftijden met de ziekte van Niemann-Pick type C, een potentieel dodelijke ziekte waarbij glycosfingolipiden zich in cellen in de hersenen en elders in het lichaam opstapelen. Miglustat Dipharma wordt ingezet om de neurologische symptomen van de ziekte te behandelen (symptomen die de hersenen en de zenuwen treffen). Het gaat onder meer om het verlies van coördinatie, problemen met saccadische (snelle) oogbewegingen die kunnen leiden tot een verminderd zicht, een vertraagde ontwikkeling, problemen met slikken, een lagere spierspanning, aanvallen en leermoeilijkheden.

Miglustat Dipharma is een 'generiek geneesmiddel'. Dit betekent dat Miglustat Dipharma dezelfde werkzame stof bevat en op dezelfde manier werkt als een 'referentiegeneesmiddel' dat al in de EU is toegelaten onder de naam Zavesca. Meer informatie over generieke geneesmiddelen vindt u in het [vraag-en-antwoorddocument](#).

Hoe wordt Miglustat Dipharma gebruikt?

Miglustat Dipharma is verkrijgbaar in de vorm van capsules van 100 mg voor inname via de mond. De aanbevolen aanvangsdosis voor de ziekte van Gaucher type 1 is één capsule driemaal daags. Voor de ziekte van Niemann-Pick type C is dit twee capsules driemaal daags wanneer de patiënt 12 jaar of

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



ouder is, terwijl bij jongere patiënten de dosering afhangt van hun lengte en gewicht. Miglustat Dipharma is bedoeld voor langdurig gebruik.

Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gecontroleerd door een professionele zorgverlener die ervaring heeft met de behandeling van de ziekte van Gaucher.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Miglustat Dipharma.

Hoe werkt Miglustat Dipharma?

De werkzame stof van Miglustat Dipharma, miglustaat, blokkeert het enzym glucosylceramidesynthase. Dit enzym is betrokken bij de eerste fase van de productie van glucosylceramide. Door de werking van het enzym te verhinderen, kan miglustaat de aanmaak van glucosylceramide in de cellen verminderen en zo de symptomen van de ziekte van Gaucher type 1 verlichten.

Hoe is Miglustat Dipharma onderzocht?

De voordelen en risico's van de werkzame stof in de goedgekeurde toepassing zijn reeds onderzocht in studies met het referentiegeneesmiddel Zavesca en hoeven dus niet nogmaals te worden onderzocht voor Miglustat Dipharma.

Zoals voor elk geneesmiddel heeft het bedrijf studies naar de kwaliteit van Miglustat Dipharma overgelegd. Het bedrijf heeft tevens een studie verricht die heeft aangetoond dat het geneesmiddel 'bio-equivalent' is aan het referentiegeneesmiddel. Twee geneesmiddelen zijn bio-equivalent wanneer ze dezelfde concentraties van de werkzame stof in het lichaam produceren en daarom naar verwachting hetzelfde effect zullen hebben.

Welke voordelen en risico's heeft Miglustat Dipharma?

Aangezien Miglustat Dipharma een generiek geneesmiddel is en biologisch gelijkwaardig aan het referentiegeneesmiddel, worden de voordelen en risico's van het middel geacht dezelfde te zijn als die van het referentiegeneesmiddel.

Waarom is Miglustat Dipharma geregistreerd in de EU?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat overeenkomstig de EU-eisen is aangetoond dat Miglustat Dipharma van vergelijkbare kwaliteit is als en biologisch gelijkwaardig aan Zavesca. Daarom was het Bureau van mening dat, net zoals voor Zavesca, het voordeel van Miglustat Dipharma groter is dan het vastgestelde risico en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Miglustat Dipharma te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Miglustat Dipharma, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Miglustat Dipharma continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Miglustat Dipharma worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Miglustat Dipharma

Miglustat Dipharma heeft op 18 februari 2019 een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen gekregen.

Meer informatie over Miglustat Dipharma is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. Informatie over het referentiegeneesmiddel staat eveneens op de website van het Geneesmiddelenbureau.

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 06-2019.