

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustaat*)

Een overzicht van Miglustat Gen.Orph en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Miglustat Gen.Orph en wanneer wordt het voorgeschreven?

Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph is een 'generiek geneesmiddel'. Dit betekent dat Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph gebruikt?

Miglustat Gen.Orph 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



ouder is, terwijl bij jongere patiënten de dosering afhangt van hun lengte en gewicht. Miglustat Gen.Orph 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.

Zie de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Miglustat Gen.Orph.

Hoe werkt Miglustat Gen.Orph?

De werkzame stof van Miglustat Gen.Orph, 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 Gen.Orph 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 Gen.Orph.

Zoals voor elk geneesmiddel heeft het bedrijf studies naar de kwaliteit van Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph?

Aangezien Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph geregistreerd in de EU?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat overeenkomstig de EU-eisen is aangetoond dat Miglustat Gen.Orph van vergelijkbare kwaliteit is als en biologisch gelijkwaardig aan Zavesca. Daarom was het Geneesmiddelenbureau van mening dat, net zoals voor Zavesca, het voordeel van Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph te waarborgen?

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

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

Overige informatie over Miglustat Gen.Orph

Miglustat Gen.Orph heeft op 10 november 2017 een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen gekregen.

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

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