



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustato Dipharma (*miglustato*)

Um resumo sobre Miglustato Dipharma e porque está autorizado na UE

O que é Miglustato Dipharma e para que é utilizado?

Miglustato Dipharma é utilizado no tratamento de duas doenças hereditárias que afetam a forma como o organismo processa as gorduras. Ambas as doenças provocam uma acumulação no organismo de substâncias gordas denominadas glicosfingolípido. Miglustato Dipharma é utilizado no tratamento dos seguintes doentes:

- Adultos (com idade igual ou superior a 18 anos) com doença de Gaucher de tipo 1 ligeira a moderada. As pessoas com esta doença têm uma deficiência da enzima glucocerebrosidase, o que resulta na acumulação de um glicosfingolípido denominado glucosilceramida em diferentes partes do organismo, tais como o baço, fígado e ossos. Miglustat Dipharma é utilizado em doentes que não podem receber o tratamento padrão de reposição enzimática (TRE);
- Doentes de todas as idades com doença de Niemann-Pick de tipo C, uma doença potencialmente mortal em que os glicosfingolípido se acumulam nas células no cérebro e noutros locais do organismo. Miglustato Dipharma é utilizado no tratamento dos sintomas neurológicos da doença (sintomas que afetam o cérebro e os nervos). Estes incluem perda de coordenação, problemas com movimentos oculares «sacádicos» (rápidos) que podem levar a problemas de visão, atraso no desenvolvimento, dificuldade em engolir, diminuição do tônus muscular, convulsões e dificuldades de aprendizagem.

Miglustato Dipharma é um medicamento genérico, o que significa que Miglustat Dipharma contém a mesma substância ativa e funciona da mesma forma que um medicamento de referência já autorizado na União Europeia (UE) denominado Zavesca. Para mais informações sobre medicamentos genéricos, ver o documento de perguntas e respostas [aqui](#).

Como se utiliza Miglustato Dipharma?

Miglustato Dipharma está disponível na forma de cápsulas de 100 mg para administração oral. A dose inicial recomendada para a doença de Gaucher de tipo 1 é de uma cápsula três vezes ao dia. Para a doença de Niemann-Pick de tipo C, a dose é de duas cápsulas três vezes ao dia para os doentes a

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



partir dos 12 anos de idade; nos doentes mais jovens, a dose depende do seu peso e altura. Miglustato Dipharma destina-se a tratamento de longo prazo.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento da doença de Gaucher.

Para mais informações sobre a utilização de Miglustato Dipharma, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Miglustato Dipharma?

A substância ativa de Miglustato Dipharma, o miglustato, inibe a atividade da enzima glicosilceramida sintetase, uma enzima envolvida na primeira fase da produção da glucosilceramida. Ao inibir o funcionamento da enzima, o miglustato reduz a produção de glucosilceramida nas células, reduzindo, deste modo, os sintomas da doença de Gaucher de tipo 1.

Como foi estudado Miglustato Dipharma?

Os estudos sobre os benefícios e os riscos da substância ativa na doença de Gaucher foram já realizados com o medicamento de referência, Zavesca, e não necessitam ser repetidos para Miglustato Dipharma.

Tal como para todos os medicamentos, a empresa apresentou estudos sobre a qualidade de Miglustato Dipharma. A empresa também realizou um estudo que demonstrou que é bioequivalente ao medicamento de referência. Dois medicamentos são bioequivalentes quando produzem os mesmos níveis da substância ativa no organismo e por isso é esperado que tenham o mesmo efeito.

Quais os benefícios e riscos de Miglustato Dipharma?

Uma vez que Miglustato Dipharma é um medicamento genérico e é bioequivalente ao medicamento de referência, os seus benefícios e riscos são considerados idênticos aos do medicamento de referência.

Porque está Miglustato Dipharma autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que, em conformidade com os requisitos da UE, Miglustato Dipharma demonstrou ter uma qualidade comparável e ser bioequivalente a Zavesca. Por conseguinte, a Agência considerou que, à semelhança de Zavesca, o benefício de Miglustato Dipharma é superior ao risco identificado e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Miglustato Dipharma?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Miglustato Dipharma.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Miglustato Dipharma são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Miglustato Dipharma são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Miglustato Dipharma

A 18 de fevereiro de 2019, Miglustato Dipharma recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia.

Mais informações sobre Miglustato Dipharma podem ser encontradas no sítio Internet da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pelmeg. Informação sobre o medicamento de referência pode também ser encontrada no sítio Internet da Agência.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 06-2019.