



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Miglustato Gen.Orph (*miglustato*)

Um resumo sobre Miglustato Gen.Orph e porque está autorizado na UE

O que é Miglustato Gen.Orph e para que é utilizado?

Miglustato Gen.Orph 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 glicosfingolípidos. Miglustato Gen.Orph 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, o fígado e os ossos. Miglustato Gen.Orph 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 Gen.Orph 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 tónus muscular, convulsões e dificuldades de aprendizagem.

Miglustato Gen.Orph é um medicamento genérico, o que significa que 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 Gen.Orph?

Miglustato Gen.Orph 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 partir dos 12 anos de idade; nos doentes mais jovens, a dose depende do seu peso e altura. Miglustato Gen.Orph 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 Gen.Orph, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Miglustato Gen.Orph?

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

Como foi estudado Miglustato Gen.Orph?

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 Gen.Orph.

Como para qualquer outro medicamento, a empresa forneceu estudos sobre a qualidade de Miglustato Gen.Orph. A empresa realizou igualmente um estudo que demonstrou que o medicamento 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 Gen.Orph?

Uma vez que Miglustato Gen.Orph 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 Gen.Orph autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que, em conformidade com os requisitos da UE, Miglustato Gen.Orph demonstrou ter uma qualidade comparável e ser bioequivalente a Zavesca. Por conseguinte, a Agência considerou que, à semelhança de Zavesca, o benefício de Miglustato Gen.Orph 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 Gen.Orph?

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 Gen.Orph.

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

Outras informações sobre Miglustato Gen.Orph

A 10 de novembro de 2017, Miglustato Gen.Orph recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia.

Mais informações sobre Miglustato Gen.Orph podem ser encontradas no sítio Internet da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. 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.