

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

Miglustat Dipharma (*miglustat*)

Prezentare generală a Miglustat Dipharma și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Miglustat Dipharma și pentru ce se utilizează?

Miglustat Dipharma se utilizează pentru a trata două boli ereditare care afectează modul în care organismul gestionează grăsimile. Ambele boli cauzează acumularea în organism a unor substanțe grase numite glicosfingolipide. Miglustat Dipharma se utilizează pentru tratamentul următoarelor categorii de pacienți:

- adulți (cu vârsta de cel puțin 18 ani) care suferă de boala Gaucher de tip I ușoară până la moderată. La pacienții cu această boală lipsește o enzimă numită glucocerebrozidază, ceea ce duce la acumularea unei glicosfingolipide, numite glucozilceramidă, în diferite părți ale organismului, cum ar fi splina, ficatul și oasele. Miglustat Dipharma se utilizează la pacienții care nu pot urma tratamentul standard numit terapie de substituție enzimatică (TSE);
- pacienți de toate vârstele cu boala Niemann-Pick de tip C, o boală potențial fatală în care glicosfingolipidele se acumulează în celulele din creier și din alte părți ale organismului. Miglustat Dipharma se utilizează pentru tratarea simptomelor neurologice ale bolii (simptome care afectează creierul și nervii). Printre acestea se numără lipsa de coordonare, probleme legate de mișcările sacadate (rapide) ale ochilor care pot duce la tulburări de vedere, întârzieri în dezvoltare, dificultăți la înghițire, scăderea tonusului muscular, convulsii și dificultăți de învățare.

Miglustat Dipharma este un „medicament generic”. Acest lucru înseamnă că Miglustat Dipharma conține aceeași substanță activă și acționează în același mod cu „medicamentul de referință” autorizat deja în UE, denumit Zavesca. Pentru mai multe informații despre medicamentele generice, citiți documentul cu întrebări și răspunsuri disponibil [aici](#).

Cum se utilizează Miglustat Dipharma?

Miglustat Dipharma este disponibil sub formă de capsule de 100 mg cu administrare orală. Doza inițială recomandată pentru boala Gaucher de tip I este de 1 capsulă de trei ori pe zi. Pentru boala Niemann-Pick de tip C, aceasta este de 2 capsule de trei ori pe zi la pacienții cu vârsta de cel puțin 12 ani; la

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



pacienții mai tineri, doza depinde de greutatea și înălțimea lor. Miglustat Dipharma este destinat utilizării pe termen lung.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie supravegheat de medici cu experiență în tratarea bolii Gaucher.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Miglustat Dipharma, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Miglustat Dipharma?

Substanța activă din Miglustat Dipharma, miglustatul, blochează activitatea unei enzime numite glucozilceramid-sintetază. Această enzimă este implicată în prima etapă a producției de glucozilceramidă. Împiedicând activitatea enzimei, miglustatul poate reduce producția de glucozilceramidă în celule și reduce astfel simptomele bolii Gaucher de tip I.

Cum a fost studiat Miglustat Dipharma?

Studiile cu privire la beneficiile și riscurile substanței active în cazul bolii Gaucher au fost deja efectuate pentru medicamentul de referință Zavesca și nu este necesară repetarea acestora pentru Miglustat Dipharma.

Ca pentru toate medicamentele, compania a pus la dispoziție studii cu privire la calitatea Miglustat Dipharma. De asemenea, compania a efectuat un studiu care demonstrează că acest medicament este „bioechivalent” cu medicamentul de referință. Două medicamente sunt bioechivalente atunci când eliberează aceeași cantitate de substanță activă în organism și, ca urmare, se anticipează că au același efect.

Care sunt beneficiile și riscurile asociate cu Miglustat Dipharma?

Având în vedere că Miglustat Dipharma este un medicament generic și este bioechivalent cu medicamentul de referință, beneficiile și riscurile asociate sunt considerate identice cu cele ale medicamentului de referință.

De ce a fost autorizat Miglustat Dipharma în UE?

Agenția Europeană pentru Medicamente a concluzionat că, în conformitate cu cerințele UE, s-a demonstrat că Miglustat Dipharma are o calitate comparabilă și este bioechivalent cu Zavesca. Prin urmare, agenția a considerat că, la fel ca în cazul Zavesca, beneficiile Miglustat Dipharma sunt mai mari decât riscurile identificate și că acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Miglustat Dipharma?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Miglustat Dipharma, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Miglustat Dipharma sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Miglustat Dipharma sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Miglustat Dipharma

Miglustat Dipharma a primit o autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 18 februarie 2019.

Informații suplimentare cu privire la Miglustat Dipharma sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma. De asemenea, pe site-ul agenției pot fi găsite informații despre medicamentul de referință.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 06-2019.