



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Miglustat Dipharma (*miglustat*)

Sammanfattning av Miglustat Dipharma och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Miglustat Dipharma och vad används det för?

Miglustat Dipharma används för att behandla två ärftliga sjukdomar som påverkar kroppens sätt att hantera fett. Båda sjukdomarna leder till att fettämnen som kallas glykosfingolipider ansamlas i kroppen. Miglustat Dipharma ges för att behandla följande patienter:

- Vuxna (18 år och äldre) med mild till måttlig Gauchers sjukdom typ 1. Patienter med denna sjukdom lider brist på ett enzym kallat glukocerebrosidas, vilket leder till att en glykosfingolipid kallad glukosylceramid ansamlas i olika delar av kroppen, såsom mjälten, levern och skelettet. Miglustat Dipharma ges till patienter som inte kan få standardbehandlingen enzymsättningsterapi (ERT).
- Patienter i alla åldrar med Niemann-Picks sjukdom typ C, en potentiellt livshotande sjukdom som innebär att glykosfingolipiderna ansamlas i cellerna i hjärnan och på andra ställen i kroppen. Miglustat Dipharma används för att behandla sjukdomens neurologiska symtom (symtom som drabbar hjärnan och nerverna). Dessa innefattar nedsatt koordinationsförmåga, problem med sackaderade (snabba) ögonrörelser som kan leda till nedsatt syn, försenad utveckling, svårigheter att svälja, minskad muskeltonus, krampanfall och inlärningssvårigheter.

Miglustat Dipharma är ett generiskt läkemedel, vilket innebär att Miglustat Dipharma innehåller samma aktiva substans och verkar på samma sätt som ett referensläkemedel som redan är godkänt i EU. Referensläkemedlet är Zavesca. Mer information om generiska läkemedel finns i dokumentet med frågor och svar [här](#).

### Hur används Miglustat Dipharma?

Miglustat Dipharma finns som kapslar på 100 mg som tas genom munnen. Den rekommenderade startdosen vid Gauchers sjukdom typ 1 är en kapsel tre gånger om dagen. Vid Niemann-Picks sjukdom typ C är den två kapslar tre gånger om dagen för patienter som är 12 år och äldre. För yngre patienter beror dosen på deras vikt och längd. Miglustat Dipharma är avsett för långtidsbehandling.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska inledas av läkare med erfarenhet av att behandla Gauchers sjukdom.

För mer information om hur du använder Miglustat Dipharma, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

## **Hur verkar Miglustat Dipharma?**

Den aktiva substansen i Miglustat Dipharma, miglustat, blockerar ett enzym som kallas glukosylceramidsyntas. Detta enzym medverkar i det första skedet av bildandet av glukosylceramid. Genom att hindra enzymet från att verka kan miglustat minska bildandet av glukosylceramid i cellerna och på så sätt minska symtomen på Gauchers sjukdom typ 1.

## **Hur har Miglustat Dipharmas effekt undersökts?**

Studier av fördelarna och riskerna med den aktiva substansen vid Gauchers sjukdom har redan utförts med referensläkemedlet Zavesca och behöver inte utföras på nytt med Miglustat Dipharma.

Liksom för alla läkemedel har företaget lagt fram kvalitetsdata för Miglustat Dipharma. Företaget har också visat i en studie att det är "bioekvivalent" med referensläkemedlet. Två läkemedel är bioekvivalenta när de bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen och förväntas därmed ha samma effekt.

## **Vilka är fördelarna och riskerna med Miglustat Dipharma?**

Eftersom Miglustat Dipharma är ett generiskt läkemedel och är bioekvivalent med referensläkemedlet anses dess fördelar och risker vara desamma som för referensläkemedlet.

## **Varför är Miglustat Dipharma godkänt i EU?**

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att det styrkts att Miglustat Dipharma i enlighet med EU:s krav har likvärdig kvalitet och är bioekvivalent med Zavesca. EMA fann därför att fördelarna är större än de konstaterade riskerna, liksom för Zavesca, och att Miglustat Dipharma kan godkännas för användning i EU.

## **Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Miglustat Dipharma?**

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Miglustat Dipharma har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Miglustat Dipharma kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Miglustat Dipharma utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

## Mer information om Miglustat Dipharma

Den 18 februari 2019 beviljades Miglustat Dipharma ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Miglustat Dipharma finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-dipharma). Information om referensläkemedlet finns också på EMA:s webbplats.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2019.