

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

Miglustat Gen.Orph (*miglustat*)

Sammanfattning av Miglustat Gen.Orph och varför det är godkänt inom EU

Vad är Miglustat Gen.Orph och vad används det för?

Miglustat Gen.Orph används för att behandla två ärftliga sjukdomar som påverkar hur kroppen hanterar fetter. Båda sjukdomarna leder till att fettämnen som kallas glykosfingolipider ansamlas i kroppen. Miglustat Gen.Orph används för att behandla följande patienter:

- Vuxna (från 18 års ålder) med mild till måttlig Gauchers sjukdom typ 1. Patienter med denna sjukdom saknar ett enzym som kallas glukocerebrosidas, vilket leder till att en glykosfingolipid kallad glukosylceramid ansamlas i olika delar av kroppen, såsom mjälten, levern och skelettet. Miglustat Gen.Orph ges till patienter som inte kan få standardbehandlingen enzymsättningsterapi (ERT).
- Patienter i alla åldrar med Niemann-Picks sjukdom typ C, en potentiellt dödlig sjukdom där glykosfingolipiderna ansamlas i cellerna i hjärnan och på andra ställen i kroppen. Miglustat Gen.Orph ges för att behandla sjukdomens neurologiska symtom (symtom som drabbar hjärnan och nerverna). Symtomen är bland annat nedsatt koordinationsförmåga, problem med sackaderade (snabba) ögonrörelser som kan leda till nedsatt syn, försenad utveckling, svårigheter att svälja, minskad muskeltonus, anfall och inlärningssvårigheter.

Miglustat Gen.Orph är ett generiskt läkemedel. Det innebär att Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph?

Miglustat Gen.Orph 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 dosen 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 Gen.Orph är avsett för långtidsbehandling.

Läkemedlet är receptbelagt och behandlingen ska övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla Gauchers sjukdom.



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

Hur verkar Miglustat Gen.Orph?

Den aktiva substansen i Miglustat Gen.Orph, 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 Gen.Orphs 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 Gen.Orph.

Liksom för alla läkemedel lade företaget fram kvalitetsdata över Miglustat Gen.Orph. Företaget har också visat i en studie att Miglustat Gen.Orph 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 Gen.Orph?

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

Varför är Miglustat Gen.Orph godkänt i EU?

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

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Miglustat Gen.Orph?

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

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

Mer information om Miglustat Gen.Orph

Den 10 november 2017 beviljades Miglustat Gen.Orph ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Miglustat Gen.Orph finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph. Information om referensläkemedlet finns också på EMA:s webbplats.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2019.