



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Miglustat Gen.Orph (*miglustat*)

Información general sobre Miglustat Gen.Orph y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Miglustat Gen.Orph y para qué se utiliza?

Miglustat Gen.Orph está indicado para el tratamiento de dos enfermedades hereditarias que afectan a la forma en que el organismo asimila las grasas. Ambas enfermedades provocan una acumulación de lípidos denominados glucoesfingolípidos en el organismo. Miglustat Gen.Orph está indicado para tratar a los siguientes pacientes:

- adultos (a partir de 18 años) con la enfermedad de Gaucher tipo 1 leve o moderada. Quienes padecen esta enfermedad carecen de una enzima denominada glucocerebrosidasa, lo que provoca la acumulación de un glucoesfingolípidido llamado glucosilceramida en diferentes partes del organismo, como el bazo, el hígado y los huesos. Miglustat Gen.Orph se administra a pacientes que no pueden recibir el tratamiento habitual consistente en la terapia enzimática de sustitución (TES).
- pacientes de todas las edades con la enfermedad Niemann-Pick de tipo C, una enfermedad que puede ser mortal en la que los glucoesfingolípidos se acumulan en las células del cerebro y en otras partes del organismo. Miglustat Gen.Orph se utiliza para tratar los síntomas neurológicos de la enfermedad (síntomas que afectan al cerebro y los nervios). Entre ellos se incluyen pérdida de la coordinación, problemas relacionados con movimientos oculares sacádicos (rápidos) que pueden provocar deterioro de la vista, retraso en el desarrollo, dificultades al tragar, disminución del tono muscular, convulsiones y dificultades de aprendizaje.

Miglustat Gen.Orph es un «medicamento genérico», es decir, contiene el mismo principio activo y funciona de la misma forma que el «medicamento de referencia» ya autorizado en la UE llamado Zavesca. Para obtener más información sobre los medicamentos genéricos, puede consultar [aquí](#) el documento de preguntas y respuestas correspondiente.

### ¿Cómo se usa Miglustat Gen.Orph?

Miglustat Gen.Orph se presenta en cápsulas de 100 mg para tomar por vía oral. La dosis inicial recomendada para la enfermedad de Gaucher tipo 1 es de una cápsula 3 veces al día. En el caso de la



enfermedad de Niemann-Pick de tipo C, para los pacientes a partir de los 12 años, la dosis es de dos cápsulas tres veces al día. La dosis en los pacientes más jóvenes dependerá de su peso y altura. Miglustat Gen.Orph está destinado a un uso prolongado.

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberán supervisarlos médicos con experiencia en el tratamiento de la enfermedad de Gaucher.

Para mayor información sobre el uso de Miglustat Gen.Orph consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

## **¿Cómo actúa Miglustat Gen.Orph?**

El principio activo de Miglustat Gen.Orph, el miglustat, impide que actúe una enzima llamada glucosilceramida sintasa, que interviene en el primer paso de la producción de la glucosilceramida. Al impedir que esta enzima actúe, el miglustat puede reducir la producción de glucosilceramida en las células, reduciendo así los síntomas de la enfermedad de Gaucher tipo 1.

## **¿Qué tipo de estudios se han realizado con Miglustat Gen.Orph?**

Los estudios sobre los beneficios y riesgos del principio activo en la enfermedad de Gaucher se han realizado con el medicamento de referencia, Zavesca, y no es necesario repetirlos para Miglustat Gen.Orph.

Como para todos los medicamentos, la compañía facilitó estudios sobre la calidad de Miglustat Gen.Orph. La compañía también realizó un estudio para demostrar que este medicamento es «bioequivalente» con respecto al medicamento de referencia. Dos medicamentos son bioequivalentes cuando se obtienen las mismas concentraciones de principio activo en el organismo y se espera, por tanto, que tengan el mismo efecto.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener y cuáles son los riesgos asociados a Miglustat Gen.Orph?**

Dado que Miglustat Gen.Orph es un medicamento genérico y es bioequivalente al medicamento de referencia, se considera que sus beneficios y riesgos son los mismos que los del medicamento de referencia.

## **¿Por qué se ha autorizado Miglustat Gen.Orph en la UE?**

La Agencia Europea de Medicamentos concluyó que, de acuerdo con los requisitos de la UE, Miglustat Gen.Orph ha demostrado tener una calidad comparable y ser bioequivalente a Zavesca. Por tanto se considera que, al igual que en el caso de Zavesca, los beneficios de Miglustat Gen.Orph son mayores que los riesgos identificados y se recomienda autorizar su uso en la UE.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Miglustat Gen.Orph?**

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Miglustat Gen.Orph se han incluido en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Miglustat Gen.Orph se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Miglustat Gen.Orph se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## Otra información sobre Miglustat Gen.Orph

Miglustat Gen.Orph recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 10 de noviembre de 2017.

Puede encontrar información adicional sobre Miglustat Gen.Orph en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/miglustat-genorph). La información sobre el medicamento de referencia se puede encontrar asimismo en la página web de la Agencia.

Fecha de la última actualización de este resumen: 06-2019.