

B. FOGLIO ILLUSTRATIVO

Agenzia Italiana del Farmaco

Foglio illustrativo: informazioni per l'utilizzatore

Miglustat Gen.Orph 100 mg capsule rigide miglustat

Legga attentamente questo foglio prima di prendere questo medicinale perché contiene importanti informazioni per lei

- Conservi questo foglio. Potrebbe aver bisogno di leggerlo di nuovo.
- Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o al farmacista.
- Questo medicinale è stato prescritto soltanto per lei. Non lo dia ad altre persone, anche se i sintomi della malattia sono uguali ai suoi, perché potrebbe essere pericoloso. Se si manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o al farmacista. Vedere paragrafo 4.

Contenuto di questo foglio:

1. Cos'è Miglustat Gen.Orph e a cosa serve.
2. Cosa deve sapere prima di prendere Miglustat Gen.Orph.
3. Come prendere Miglustat Gen.Orph.
4. Possibili effetti indesiderati.
5. Come conservare Miglustat Gen.Orph.
6. Contenuto della confezione e altre informazioni.

1. Cos'è Miglustat Gen.Orph e a cosa serve

Miglustat Gen.Orph contiene il principio attivo miglustat che appartiene a un gruppo di medicinali che agiscono sul metabolismo. E' usato per trattare due malattie:

- **Miglustat Gen.Orph è utilizzato per trattare la malattia di Gaucher di tipo 1 da lieve a moderata negli adulti.**

Nella malattia di Gaucher di tipo 1 una sostanza chiamata glucosilceramide non viene eliminata dal suo corpo. Essa si accumula in alcune cellule del sistema immunitario. Questo accumulo può portare a ingrossamento di fegato e milza, alterazioni delle cellule del sangue e a malattia ossea.

Il trattamento abitualmente previsto per la malattia di Gaucher di tipo 1 è costituito dalla terapia di sostituzione enzimatica. Miglustat Gen.Orph viene utilizzato solamente se un paziente viene ritenuto non adatto al trattamento con la terapia di sostituzione enzimatica.

- **Miglustat Gen.Orph è anche utilizzato, negli adulti e nei bambini, per trattare i sintomi neurologici progressivi nella malattia di Niemann-Pick di tipo C**

Se è affetto dalla malattia di Niemann-Pick di tipo C, grassi (come, ad esempio, i glicosfingolipidi) aumentano all'interno delle cellule del cervello. Questo può provocare disturbi delle funzioni neurologiche quali, movimenti oculari lenti, equilibrio, deglutizione, memoria e crisi convulsive.

Miglustat Gen.Orph agisce inibendo un enzima chiamato "glucosilceramide-sintetasi" che è responsabile della prima fase della sintesi della maggior parte dei glicosfingolipidi.

2. Cosa deve sapere prima di prendere Miglustat Gen.Orph

Non prenda Miglustat Gen.Orph:

- se è allergico al miglustat o ad uno qualsiasi degli altri componenti di questo medicinale (elencati al paragrafo 6).

Avvertenze e precauzioni

Si rivolga al medico o al farmacista prima di prendere Miglustat Gen.Orph:

- se soffre di patologie renali;
- se soffre di patologie del fegato.

Prima e durante il trattamento con Miglustat Gen.Orph, il medico eseguirà i seguenti controlli:

- esame per controllare le condizioni dei nervi delle sue braccia e gambe
- misurazione dei livelli di vitamina B₁₂
- controllo dell'accrescimento, in caso di paziente in età pediatrica o adolescente affetto dalla malattia di Niemann-Pick di tipo C
- controllo del numero delle piastrine ematiche

Il motivo per cui vengono eseguiti questi controlli è che, durante l'assunzione di Miglustat Gen.Orph, alcuni pazienti hanno accusato formicolio o intorpidimento alle mani e ai piedi, o un calo del peso corporeo. I controlli aiuteranno il medico a stabilire se tali effetti sono dovuti alla sua malattia o ad altre condizioni esistenti o sono effetti indesiderati di Miglustat Gen.Orph (per ulteriori informazioni vedere paragrafo 4).

Se lei ha diarrea, il medico può decidere di modificare la sua dieta per ridurre il lattosio e il consumo di carboidrati come il saccarosio (zucchero di canna); decidere di non farle prendere Miglustat Gen.Orph insieme al cibo; decidere di ridurre temporaneamente la dose di Miglustat Gen.Orph. In qualche caso il medico può prescrivere medicinali antidiarroici come la loperamide. Nel caso in cui la diarrea non risponda ai provvedimenti sopracitati o se ha qualche altro disturbo addominale, consulti il medico. In questo caso, il medico può decidere di effettuare ulteriori accertamenti.

I pazienti di sesso maschile, durante il trattamento con Miglustat Gen.Orph e per i 3 mesi successivi alla sua conclusione, devono utilizzare metodi contraccettivi affidabili.

Bambini e adolescenti

Non somministrare questo medicinale a bambini ed adolescenti (età inferiore a 18 anni), con malattia di Gaucher di tipo 1, poiché non è noto se il medicinale agisca in questa malattia.

Altri medicinali e Miglustat Gen.Orph

Informi il medico o il farmacista se sta assumendo, ha recentemente assunto o potrebbe assumere qualsiasi altro medicinale.

Informi il medico se sta assumendo altri medicinali contenenti imiglucerasi, che a volte sono utilizzati contemporaneamente a Miglustat Gen.Orph. Essi possono diminuire l'esposizione del suo organismo a Miglustat Gen.Orph.

Gravidanza, allattamento e fertilità

Se è in corso una gravidanza, se sospetta o sta pianificando una gravidanza, non deve prendere Miglustat Gen.Orph. Il medico sarà in grado di fornirle ulteriori informazioni. Durante l'assunzione di Miglustat Gen.Orph dovrà fare uso di un metodo contraccettivo efficace. Non allatti con latte materno mentre sta prendendo Miglustat Gen.Orph.

I pazienti maschi, durante l'assunzione di Miglustat Gen.Orph, e per 3 mesi dopo la conclusione del trattamento, devono continuare ad utilizzare metodi contraccettivi affidabili.

Se è in corso una gravidanza, se sospetta o sta pianificando una gravidanza o se sta allattando con latte materno, chieda consiglio al medico o farmacista prima di assumere questo medicinale.

Guida di veicoli e utilizzo di macchinari

Miglustat Gen.Orph può provocare capogiri. In caso di capogiri si sconsiglia la guida dell'automobile e l'utilizzo di attrezzi o macchinari.

Miglustat Gen.Orph contiene sodio

Questo medicinale contiene meno di 1 mmol (23 mg) di sodio per capsula rigida, cioè essenzialmente "senza sodio".

3. Come prendere Miglustat Gen.Orph

Prenda questo medicinale seguendo sempre esattamente le istruzioni del medico. Se ha dubbi consulti il medico o il farmacista.

- **Per la malattia di Gaucher di tipo 1:** per gli adulti, la dose abituale è di una capsula (100 mg) tre volte al giorno (mattina, pomeriggio e sera), pari ad un massimo di tre capsule al giorno (300 mg).
- **Per la malattia di Niemann-Pick di tipo C:** per gli adulti e gli adolescenti (maggiori di 12 anni) la dose abituale è di due capsule (200 mg) 3 volte al giorno (mattina, pomeriggio e sera). Questo significa un massimo giornaliero di sei capsule (600 mg).

Per i bambini **di età inferiore a 12 anni**, il medico modificherà in modo adeguato la dose di farmaco da utilizzare per la malattia di Niemann-Pick di tipo C.

Se ha problemi renali, all'inizio del trattamento, potrebbe ricevere una dose più bassa. Il medico potrebbe decidere di ridurre la dose; per esempio, una capsula (100 mg), una o due volte al giorno, nel caso soffra di diarrea prendendo Miglustat Gen.Orph (vedere paragrafo 4). Il medico deciderà e comunicherà quanto il trattamento dovrà durare.

Miglustat Gen.Orph può essere assunto a digiuno o a stomaco pieno. La capsula deve essere ingoiata intera con un bicchiere d'acqua.

Se prende più Miglustat Gen.Orph di quanto deve

Se prende più capsule di quanto deve, consulti il medico immediatamente. In studi clinici, miglustat è stato utilizzato a dosi 10 volte superiori a quella raccomandata: questo ha causato diminuzioni della quantità di globuli bianchi e altri effetti indesiderati, analoghi a quelli descritti nel paragrafo 4.

Se dimentica di prendere Miglustat Gen.Orph

Prenda la capsula successiva all'ora abituale. Non prenda una dose doppia per compensare la dose dimenticata.

Se interrompe il trattamento con Miglustat Gen.Orph

Non smetta di prendere Miglustat Gen.Orph senza aver parlato con il medico.

Se ha qualsiasi dubbio sull'uso di questo medicinale, si rivolga al medico o farmacista.

4. Possibili effetti indesiderati

Come tutti i medicinali, questo medicinale, può causare effetti indesiderati sebbene non tutte le persone li manifestino.

Effetti indesiderati gravi

Alcuni pazienti hanno manifestato formicolio o intorpidimento alle mani e ai piedi (osservati comunemente). Questi potrebbero essere segni di neuropatia periferica, dovuti ad effetti indesiderati di Miglustat Gen.Orph oppure potrebbero essere dovuti a condizioni già esistenti. Per valutarli, il medico effettuerà alcuni controlli prima e durante il trattamento con Miglustat Gen.Orph (vedere paragrafo 2).

Se lei avverte uno qualsiasi di questi effetti, per favore richieda un parere medico al suo dottore il più presto possibile.

Se lei avverte un leggero tremore, usualmente tremito alle mani, richieda un parere al suo dottore il più presto possibile. Il tremore spesso scompare senza la necessità di interrompere il

trattamento. Per fare scomparire il tremore, talvolta il suo medico avrà necessità di ridurre la dose o interrompere il trattamento con Miglustat Gen.Orph.

Effetti molto comuni (possono manifestarsi in più di 1 persona su 10)

Tra gli effetti indesiderati più comuni rientrano: diarrea, flatulenza (gas intestinale), dolore addominale (stomaco), perdita di peso e riduzione dell'appetito.

Se lei perde peso quando inizia il trattamento con Miglustat Gen.Orph non si preoccupi. La perdita di peso si arresta, normalmente, con il procedere del trattamento.

Effetti comuni (possono manifestarsi fino a 1 persona su 10)

Gli effetti indesiderati comuni del trattamento includono mal di testa, capogiro, parestesia (formicolio o intorpidimento), coordinazione anormale, ipoestesia (sensibilità al tatto ridotta), dispepsia (bruciore di stomaco), nausea (sensazione di star male), stitichezza e vomito, gonfiore o fastidio addominale (stomaco), trombocitopenia (riduzione dei livelli di piastrine nel sangue).

I sintomi neurologici e la trombocitopenia possono essere dovuti alla malattia di base.

Altri possibili effetti indesiderati sono: debolezza o spasmi muscolari, stanchezza, brividi e malessere, depressione, difficoltà a dormire, mancanza di memoria e diminuzione della libido.

La maggior parte dei pazienti lamenta uno o più di questi effetti indesiderati, solitamente all'inizio del trattamento o ad intervalli durante il trattamento. Questi casi sono per lo più lievi e scompaiono rapidamente. Se qualcuno di questi effetti indesiderati provocasse dei problemi, consulti il medico. Le potrà ridurre la dose di Miglustat Gen.Orph o consigliare altre medicine in grado di contrastare gli effetti indesiderati.

Segnalazione degli effetti indesiderati

Se si manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o al farmacista. Può inoltre segnalare gli effetti indesiderati direttamente tramite il sistema nazionale di segnalazione riportato nell'[Allegato V](#). Segnalando gli effetti indesiderati può contribuire a fornire maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicinale.

5. Come conservare Miglustat Gen.Orph

Conservi questo medicinale fuori dalla vista e dalla portata dei bambini.

Non usi questo medicinale dopo la data di scadenza che è riportata sulla scatola dopo la scritta "Scad.". La data di scadenza si riferisce all'ultimo giorno di quel mese.

Questo medicinale non richiede alcuna condizione particolare di conservazione.

Non getti alcun medicinale nell'acqua di scarico e nei rifiuti domestici. Chiedi al farmacista come eliminare i medicinali che non utilizza più. Questo aiuterà a proteggere l'ambiente.

6. Contenuto della confezione e altre informazioni

Cosa contiene Miglustat Gen.Orph

- Il principio attivo è miglustat 100 mg.
- Gli altri componenti sono sodio amido glicolato (tipo A), povidone (K30), magnesio stearato, gelatina, titanio diossido (E171). Vedere paragrafo 2 "Miglustat Gen.Orph contiene sodio".

Descrizione dell'aspetto di Miglustat Gen.Orph e contenuto della confezione

Le capsule rigide di Miglustat Gen.Orph da 100 mg hanno tappo e corpo bianco opaco, capsule rigide di gelatina di dimensione 4, con lunghezza di 14 mm.

Confezione da 84 capsule rigide in blister non perforati e 84x1 capsule rigide in blister divisibili per dose unitaria.

È possibile che non tutte le confezioni siano commercializzate.

Titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio e produttore

Gen.Orph
185 Bureaux de la Colline
92213 Saint Cloud Cedex
Francia

Produttori

Delpharm Reims
10 rue Colonel Charbonneaux
51100 Reims
Francia

o
Centre Lab
ZA Granderaie
23000 Guéret
Francia

Per ulteriori informazioni su questo medicinale, contatti il rappresentante locale del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

België/Belgique/Belgien

Gen.Orph
Tél/Tel: +32 (0)496 85 87 49
e-mail: reg@studiopharma.be

Lietuva

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

България

Диакомерс ЕООД
Тел.: +359 2 807 50 00
E-mail: diacommerce@diacommerce.bg

Luxembourg/Luxemburg

Gen.Orph
Tél/Tel.: +33 (0)1 47 71 04 50
email: contact@gen-orph.com

Česká republika

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

Magyarország

Gen.Orph
Tel.: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

Danmark

Gen.Orph
Tlf: +46 (0)8 21 54 45
e-mail: pharmacovigilance.SE@propharmagroup.com

Malta

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail : contact@gen-orph.com

Deutschland

Gen.Orph
Tel: +49 30 8560687897
email: pharmacovigilance.DE@propharmagroup.com

Nederland

Gen.Orph
Tel: +32 (0)496 85 87 49
e-mail: reg@studiopharma.be

Eesti

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
email: contact@gen-orph.com

Norge

Gen.Orph
Tlf: +46 (0)8 21 54 45
e-mail : pharmacovigilance.SE@propharmagroup.com

Ελλάδα

Gen.Orph
Τηλ: +33 (0)1 47 71 04 50
email: contact@gen-orph.com

Österreich

Gen.Orph
Tel : +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

España

Pharma International S.A.
Tel: +34 915 635 856
e-mail: farmacovigilancia@pharmaintl.net

France

Gen.Orph
Tél.: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail : contact@gen-orph.com

Hrvatska

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

Ireland

Gen.Orph
Tel : +33 (0)1 47 71 04 50
email: contact@gen-orph.com

Ísland

Gen.Orph
Sími: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail : contact@gen-orph.com

Italia

Biovalley Investments Partner S.r.l.
Tel: +39 040 899 2219
e.mail: info@biovalleyinvestmentspartner.it

Κύπρος

Gen.Orph
Τηλ: +33 (0)1 47 71 04 50
email: contact@gen-orph.com

Latvija

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

Polska

Gen.Orph
Tel.: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

Portugal

Biojam, S.A.
Tel: +351 212 697 912
e-mail: farmacovigilancia@phagecon.pt

România

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

Slovenija

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
email: contact@gen-orph.com

Slovenská republika

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

Suomi/Finland

Gen.Orph
Puh/Tel : +46 (0)8 21 54 45
e-mail : pharmacovigilance.SE@propharmagroup.com

Sverige

Gen.Orph
Tel: +46 (0)8 21 54 45
e-mail: pharmacovigilance.SE@propharmagroup.com

United Kingdom

Gen.Orph
Tel: +33 (0)1 47 71 04 50
e-mail: contact@gen-orph.com

Questo foglio illustrativo è stato aggiornato il {mese AAAA}.

Informazioni più dettagliate su questo medicinale sono disponibili sul sito web dell'Agenzia Europea dei Medicinali: <http://www.ema.europa.eu>. Inoltre, sono riportati link ad altri siti web su malattie rare e relativi trattamenti terapeutici.