

Bijsluiter: informatie voor de gebruiker

Miglustat Gen.Orph 100 mg harde capsules miglustat

Lees goed de hele bijsluiter voordat u dit geneesmiddel gaat gebruiken want er staat belangrijke informatie in voor u.

- Bewaar deze bijsluiter. Misschien heeft u hem later weer nodig.
- Heeft u nog vragen? Neem dan contact op met uw arts of apotheker.
- Geef dit geneesmiddel niet door aan anderen, want het is alleen aan u voorgeschreven. Het kan schadelijk zijn voor anderen, ook al hebben zij dezelfde klachten als u.
- Krijgt u last van een van de bijwerkingen die in rubriek 4 staan? Of krijgt u een bijwerking die niet in deze bijsluiter staat? Neem dan contact op met uw arts of apotheker. Zie rubriek 4.

Inhoud van deze bijsluiter

1. Wat is Miglustat Gen.Orph en waarvoor wordt dit middel gebruikt?
2. Wanneer mag u dit middel niet gebruiken of moet u er extra voorzichtig mee zijn?
3. Hoe gebruikt u dit middel?
4. Mogelijke bijwerkingen
5. Hoe bewaart u dit middel?
6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

1. Wat is Miglustat Gen.Orph en waarvoor wordt dit middel gebruikt?

Miglustat Gen.Orph bevat de werkzame stof miglustat, die behoort tot een groep geneesmiddelen die het metabolisme beïnvloeden. Het wordt gebruikt voor de behandeling van twee aandoeningen:

- **Miglustat Gen.Orph wordt gebruikt bij volwassenen voor de behandeling van een milde tot matige vorm van de ziekte van Gaucher type 1.**

Bij de ziekte van Gaucher type 1 wordt een stof, glucosylceramide, niet uit uw lichaam verwijderd. Deze stof hoopt zich op in bepaalde cellen van het immuunsysteem van het lichaam. Dit kan leiden tot lever- en miltvergroting, veranderingen in het bloed en botziekte.

De gebruikelijke behandeling van de ziekte van Gaucher type 1 is enzymvervangende therapie (Enzyme Replacement Therapy, ERT). Miglustat Gen.Orph wordt uitsluitend gebruikt in gevallen waarin de patiënt niet geschikt wordt geacht voor ERT.

- **Miglustat Gen.Orph wordt ook gebruikt bij volwassenen en kinderen voor de behandeling van progressieve neurologische symptomen van de ziekte van Niemann-Pick type C.**

Als u aan de ziekte van Niemann-Pick type C lijdt, hopen vetten zoals glycosfingolipiden zich op in de cellen van uw hersenen. Dit kan leiden tot stoornissen in neurologische functies zoals langzame oogbewegingen, balans, slikken en geheugen en epileptische aanvallen.

De werking van Miglustat Gen.Orph is gebaseerd op het remmen van het enzym glucosylceramidesynthase dat verantwoordelijk is voor de eerste stap in de synthese van de meeste glycosfingolipiden.

2. Wanneer mag u dit middel niet gebruiken of moet u er extra voorzichtig mee zijn?

Wanneer mag u dit middel niet gebruiken?

- U bent allergisch voor een van de stoffen in dit geneesmiddel. Deze stoffen kunt u vinden in rubriek 6.

Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?

Neem contact op met uw arts of apotheker voordat u dit middel gebruikt

- als u lijdt aan een nieraandoening
- als u lijdt aan een leveraandoening

Uw arts zal de volgende tests uitvoeren vóór en tijdens de behandeling met Miglustat Gen.Orph:

- een onderzoek van de zenuwen in uw armen en benen
- bepaling van de vitamine B₁₂-spiegel
- regelmatige controle van de groei bij kinderen of jongeren met de ziekte van Niemann-Pick type C
- regelmatige controle van het aantal bloedplaatjes

De reden voor deze tests is dat sommige patiënten tintelingen en gevoelloosheid in handen en voeten kregen of gewicht verloren tijdens de behandeling met Miglustat Gen.Orph. Met behulp van de tests kan de arts vaststellen of deze effecten het gevolg zijn van uw ziekte of andere aandoeningen die u al heeft of moeten worden toegeschreven aan bijwerkingen van Miglustat Gen.Orph (zie rubriek 4 voor meer informatie).

Als u last heeft van diarree, kan uw arts u vragen uw dieet zo te veranderen dat u minder lactose en koolhydraten zoals sucrose (rietsuiker) binnenkrijgt of om Miglustat Gen.Orph niet tegelijkertijd met voedsel in te nemen. Ook kan uw arts de dosis tijdelijk verlagen. In enkele gevallen kan de arts medicijnen tegen diarree voorschrijven zoals loperamide. Als de diarree na deze maatregelen niet verdwijnt of als u andere buikklachten heeft, moet u uw arts raadplegen. In dergelijke gevallen kan uw arts besluiten u nader te onderzoeken.

Mannelijke patiënten moeten een betrouwbare anticonceptiemethode toepassen tijdens de behandeling met Miglustat Gen.Orph en gedurende 3 maanden na beëindiging van de behandeling.

Kinderen en jongeren tot 18 jaar

Geef dit geneesmiddel niet aan kinderen en jongeren (jonger dan 18 jaar) met de ziekte van Gaucher type 1, want het is niet bekend of het bij hen werkzaam is bij deze ziekte.

Gebruikt u nog andere geneesmiddelen?

Gebruikt u naast Miglustat Gen.Orph nog andere geneesmiddelen, heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u binnenkort andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts of apotheker.

Indien u naast Miglustat Gen.Orph geneesmiddelen gebruikt die imiglucerase bevatten, dient u uw arts hierover in te lichten. Dit kan namelijk de hoeveelheid Miglustat Gen.Orph in uw lichaam verlagen.

Zwangerschap, borstvoeding en vruchtbaarheid

U mag Miglustat Gen.Orph niet gebruiken als u zwanger bent of als u zwanger wilt worden. Uw arts kan u meer informatie geven. Zorg voor doeltreffende anticonceptie als u Miglustat Gen.Orph gebruikt. Geef geen borstvoeding als u Miglustat Gen.Orph gebruikt.

Mannelijke patiënten moeten een betrouwbare anticonceptiemethode toepassen tijdens de behandeling met Miglustat Gen.Orph en tot 3 maanden na beëindigen van de behandeling.

Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding? Neem dan contact op met uw arts of apotheker voordat u dit geneesmiddel gebruikt.

Rijvaardigheid en het gebruik van machines

Miglustat Gen.Orph kan duizeligheid veroorzaken. Rijd niet, gebruik geen gereedschap en gebruik geen machines als u zich duizelig voelt.

Miglustat Gen.Orph bevat natrium

Dit middel bevat minder dan 1 mmol natrium (23 mg) per harde capsule, dat wil zeggen dat het in wezen 'natriumvrij' is.

3. Hoe gebruikt u dit middel?

Gebruik dit geneesmiddel altijd precies zoals uw arts of apotheker u dat heeft verteld. Twijfelt u over het juiste gebruik? Neem dan contact op met uw arts of apotheker.

- **Voor de ziekte van Gaucher type 1:** Voor volwassenen is de gebruikelijke dosis één capsule (100 mg) driemaal daags ('s ochtends, 's middags en 's avonds). Dit betekent dat de maximale dagelijkse dosis drie capsules bedraagt (300 mg).
- **Voor de ziekte van Niemann-Pick type C:** Voor volwassenen en jongeren (van 12 jaar en ouder) is de gebruikelijke dosis twee capsules (200 mg) driemaal daags ('s ochtends, 's middags en 's avonds). Dit betekent dat de maximale dagelijkse dosis 6 capsules bedraagt (600 mg).

Bij kinderen **jonger dan 12 jaar** met de ziekte van Niemann-Pick type C zal de arts de dosis aanpassen.

Als u nierproblemen heeft, kunt u een lagere startdoserings krijgen. Uw arts kan de dosis verlagen tot bijvoorbeeld één capsule (100 mg) eenmaal of tweemaal daags als u last heeft van diarree tijdens het gebruik van Miglustat Gen.Orph (zie rubriek 4). Uw arts zal u laten weten hoe lang de behandeling gaat duren.

Miglustat Gen.Orph kan met of zonder voedsel worden ingenomen. U dient de capsule in zijn geheel door te slikken met een glas water.

Heeft u te veel van dit middel gebruikt?

Als u meer capsules heeft gebruikt dan voorgeschreven, moet u direct uw arts raadplegen. Miglustat Gen.Orph is in klinische onderzoeken toegediend in doses tot 3 000 mg. Dit leidde tot een afname van het aantal witte bloedcellen en andere bijwerkingen die identiek waren aan de bijwerkingen die worden beschreven in rubriek 4.

Bent u vergeten dit middel te gebruiken?

Slik de volgende capsule op het gebruikelijke tijdstip. Neem geen dubbele dosis om een vergeten dosis in te halen.

Als u stopt met het gebruik van dit middel

Stop niet zomaar met het gebruik van Miglustat Gen.Orph zonder uw arts te raadplegen.

Heeft u nog andere vragen over het gebruik van dit geneesmiddel? Neem dan contact op met uw arts of apotheker.

4. Mogelijke bijwerkingen

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

De ernstigste bijwerkingen zijn:

Enkele patiënten hadden tintelingen of gevoelloosheid in handen en voeten (dit trad vaak op). Dit kunnen verschijnselen zijn van perifere neuropathie. Deze verschijnselen kunnen bijverschijnselen zijn van Miglustat Gen.Orph maar kunnen ook het gevolg zijn van bestaande aandoeningen. Uw arts zal vóór en tijdens de behandeling met Miglustat Gen.Orph een aantal tests uitvoeren om dit te onderzoeken (zie rubriek 2).

Als u een van deze bijwerkingen krijgt, raadpleeg dan uw arts zo spoedig mogelijk.

Als u last krijgt van lichte tremoren, meestal **bevende handen**, **raadpleeg dan uw arts** zo spoedig mogelijk. De bevingen verdwijnen meestal zonder dat de behandeling moet worden beëindigd. In sommige gevallen kan het noodzakelijk zijn dat uw arts de dosis verlaagt of de behandeling staakt om een einde te maken aan de tremoren.

Zeer vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen optreden bij meer dan 1 op de 10 gebruikers)
De meest voorkomende bijwerkingen zijn diarree, flatulentie (winderigheid), abdominale pijn (buikpijn), gewichtsverlies en afname van de eetlust.

Indien u wat gewicht verliest als u gestart bent met het gebruik van Miglustat Gen.Orph, hoeft u zich geen zorgen te maken. Meestal stopt het verlies van gewicht naarmate de behandeling wordt voortgezet.

Vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen optreden bij hooguit 1 op de 10 gebruikers)
Vaak voorkomende bijwerkingen tijdens de behandeling zijn hoofdpijn, duizeligheid, paresthesie (prikkelingen of doofheid), abnormale coördinatie, hypo-esthesie (verminderde gevoeligheid voor aanraking), dyspepsie (brandend maagzuur), misselijkheid, constipatie en braken, opgeblazen of ongemakkelijk gevoel in het abdomen (de buik) en trombocytopenie (afname van het aantal bloedplaatjes). De neurologische symptomen en de trombocytopenie kunnen het gevolg zijn van de onderliggende ziekte.

Andere mogelijke bijwerkingen zijn spierspasmen of -verslapping, vermoeidheid, rillingen en malaise, neerslachtigheid, slaapproblemen, vergeetachtigheid en afgenomen libido (minder zin in seks).

De meeste patiënten krijgen een of meer van deze bijwerkingen, meestal in het begin van de behandeling of zo nu en dan tijdens de behandeling. In de meeste gevallen zijn ze mild en gaan ze snel over. Als deze bijwerkingen aanleiding geven tot bezorgdheid of ongemak, kunt u zich wenden tot uw arts. Deze kan de dosis verminderen of andere middelen voorschrijven om de bijwerkingen onder controle te houden.

Het melden van bijwerkingen

Krijgt u last van bijwerkingen, neem dan contact op met uw arts of apotheker. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in deze bijsluiter staan.. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden via **het nationale meldsysteem zoals vermeld in [aanhangsel V](#)**. Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

5. Hoe bewaart u dit middel?

Buiten het zicht en bereik van kinderen houden.

Gebruik dit geneesmiddel niet meer na de uiterste houdbaarheidsdatum. Die vindt u op de doos na 'EXP'. Daar staat een maand en een jaar. De laatste dag van die maand is de uiterste houdbaarheidsdatum.

Voor dit geneesmiddel zijn er geen speciale bewaarcondities.

Spoel geneesmiddelen niet door de gootsteen of de WC en gooi ze niet in de vuilnisbak. Vraag uw apotheker wat u met geneesmiddelen moet doen die u niet meer gebruikt. Als u geneesmiddelen op de juiste manier afvoert, worden ze op een verantwoorde manier vernietigd en komen ze niet in het milieu terecht.

6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

Welke stoffen zitten er in dit middel?

- De werkzame stof in dit middel is 100 mg miglustat.
- De andere stoffen in dit middel zijn:
natriumzetmeel-glycolaat (type A),
povidon (K30),
magnesiumstearaat,
gelatine,
titaandioxide (E171),

Zie rubriek 2. 'Miglustat Gen.Orph bevat natrium'.

Hoe ziet Miglustat Gen.Orph eruit en hoeveel zit er in een verpakking?

Miglustat Gen.Orph 100 mg harde capsules zijn harde gelatinecapsules maat 4 met een lengte van 14 mm met een wit ondoorzichtig kapje en omhulsel.

Verpakkingsgrootte van 84 harde capsules in niet-geperforeerde blisters en 84x1 harde capsules in geperforeerde eenheidsblisterverpakking.

Niet alle genoemde verpakkingsgrootten worden in de handel gebracht.

Houder van de vergunning voor het in de handel brengen:

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

Fabrikanten:

Delpharm Reims
10 rue Colonel Charbonneaux
51100 Reims
Frankrijk
of
Centre Lab
ZA Granderaie
23000 Guéret
Frankrijk

Neem voor alle informatie met betrekking tot dit geneesmiddel contact op met de lokale vertegenwoordiger van de houder van de vergunning voor het in de handel brengen:

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

Deutschland

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

Eesti

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

Ελλάδα

Gen.Orph
Τηλ: +33 (0)1 47 71 04 50
email: 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

Malta

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

Nederland

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

Norge

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

Österreich

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

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

Deze bijsluiter is voor het laatst goedgekeurd in: {maand JJJJ}

Meer informatie over dit geneesmiddel is beschikbaar op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: <http://www.ema.europa.eu>. Hier vindt u ook verwijzingen naar andere websites over zeldzame ziektes en hun behandelingen.