

# Miglustat

## Spécialité(s) pharmaceutique(s)

**Miglustat 65 mg, gélule**

## Substance active

miglustat

## Laboratoire

Amicus

## AMM

## Documents de référence dans le cadre de l'AMM

## Indication(s) dans ce cadre

## Documents de référence dans ce cadre

## Suivi des patients

## Base publique du médicament

Titulaire (s)

Critères d'octroi

Indications

Code(s) CIP

Documents de référence

Lire aussi

Autres informations

Données d'inclusion

Résumé de rapport de synthèse périodique

**Autorisation d'accès compassionnel (AAC)**

**Miglustat 65 mg, gélule**

Fin d'AAC le 13/11/2023

**Autorisation d'accès précoce (AAP)**

**Miglustat 65 mg, gélule**

**Indication de l'AAP refusée le 27/07/2023**

Dans le traitement à long terme des patients adultes atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe (déficit en  $\alpha$ -glucosidase acide [GAA]) en cas d'échec à un traitement enzymatique substitutif

- Décision de refus de la HAS

**Autorisation de mise sur le marché (AMM) - Oui**

