

PUBLIÉ LE 06/05/2022 - MISE À JOUR LE 15/11/2023

## Miglustat

Base publique du médicament

| 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                            |
|   |
|   |

| 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

• <u>Décision de refus de la HAS</u>

Autorisation de mise sur le marché (AMM) - Oui

L