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

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 α-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