

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