

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Avis
4 septembre 2019

miglustat

YARGESA 100 mg, gélule

Boîte de 84 gélules (CIP : 34009 301 823 3 8)

Laboratoire CENTRE SPECIALITES PHARMACEUTIQUES

Code ATC	A16AX06 (Divers médicaments des voies digestives et du métabolisme)
Motif de l'examen	Inscription
Liste concernée	Collectivités (CSP L.5123-2)
Indications concernées	« Yargesa est indiqué pour le traitement par voie orale des patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée. Yargesa ne doit être utilisé que pour le traitement des patients chez lesquels la thérapie de remplacement enzymatique ne convient pas (cf. rubriques 4.4 et 5.1 du RCP). Yargesa est indiqué pour le traitement des manifestations neurologiques progressives des patients adultes et des enfants atteints de maladie de Niemann-Pick type C (cf. rubriques 4.4 et 5.1 du RCP). »

01 INFORMATIONS ADMINISTRATIVES ET REGLEMENTAIRES

AMM	Date initiale (procédure centralisée) : 22/03/2017 Plan de gestion des risques Article 10(1) : générique
Conditions de prescription et de délivrance/statut particulier	Liste I Médicament soumis à prescription hospitalière

02 CONTEXTE

Il s'agit de la demande d'inscription de la spécialité YARGESA 100 mg, gélule, sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités. Cette spécialité est un générique de ZAVESCA 100 mg, gélule.

Dans son avis du 12 novembre 2003, la Commission a considéré que le SMR de ZAVESCA était important dans l'indication « traitement par voie orale de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée. ZAVESCA ne doit être utilisé que pour le traitement des patients chez lesquels la thérapie de remplacement enzymatique ne convient pas. »

Dans son avis du 16 décembre 2009, la Commission a considéré que le SMR de ZAVESCA était modéré dans l'indication « traitement des manifestations neurologiques progressives des patients adultes et des enfants atteints de maladie de Niemann-Pick type C. »

03 CONCLUSIONS DE LA COMMISSION

Considérant l'ensemble de ces données et informations et après débat et vote, la Commission estime :

03.1 Service Médical Rendu

La Commission considère que le service médical rendu par YARGESA 100 mg est :

- **important** dans le « traitement par voie orale des patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée. YARGESA ne doit être utilisé que pour le traitement des patients chez lesquels la thérapie de remplacement enzymatique ne convient pas. »
- **modéré** dans le « traitement des manifestations neurologiques progressives des patients adultes et des enfants atteints de maladie de Niemann-Pick type C. »

La Commission donne un avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans les indications et aux posologies de l'AMM.

03.2 Amélioration du Service Médical Rendu

La spécialité YARGESA n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à la spécialité princeps ZAVESCA, déjà inscrite.