



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

## COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

### AVIS

13 MAI 2020

*miglustat*  
MIGLUSTAT DIPHARMA 100 mg, gélule

Mise à disposition d'un générique

#### ► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans :

- le traitement par voie orale des patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée (cf. AMM).
- le traitement des manifestations neurologiques progressives des patients adultes et des enfants atteints de maladie de Niemann-Pick type C.

#### ► Quel progrès ?

Pas de progrès par rapport au princeps (ZAVESCA 100 mg, gélule).

## 01 CONTEXTE

---

Il s'agit d'une demande d'inscription sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités de la spécialité MIGLUSTAT DIPHARMA 100 mg, gélule.

Cette spécialité est un générique de la spécialité de référence ZAVESCA 100 mg, gélule (miglustat).

Pour rappel, dans son avis du 12/11/2003, la Commission a octroyé à ZAVESCA 100 mg (miglustat), gélule, un service médical rendu important dans l'indication du traitement par voie orale de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée<sup>1</sup>. Dans son avis du 16/12/2009, la Commission a de plus octroyé à ZAVESCA 100 mg (miglustat), gélule, un service médical rendu modéré dans l'indication du traitement des manifestations neurologiques progressives des patients adultes et des enfants atteints de maladie de Niemann-Pick type C<sup>2</sup>.

## 02 INDICATIONS THERAPEUTIQUES

---

« MIGLUSTAT DIPHARMA est indiqué pour le traitement par voie orale des patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée. MIGLUSTAT DIPHARMA ne doit être utilisé que pour le traitement des patients chez lesquels la thérapie de remplacement enzymatique ne convient pas.

MIGLUSTAT DIPHARMA est indiqué pour le 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 MIGLUSTAT DIPHARMA 100 mg est :**

- **important dans l'indication du traitement par voie orale des patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée. MIGLUSTAT DIPHARMA ne doit être utilisé que pour le traitement des patients chez lesquels la thérapie de remplacement enzymatique ne convient pas.**
- **modéré dans l'indication du 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 de l'AMM**

---

<sup>1</sup> Avis de la commission de la Transparence relatif à ZAVESCA 100 mg, gélule, 12 novembre 2003.

<sup>2</sup> Avis de la commission de la Transparence relatif à ZAVESCA 100 mg, gélule, 16 décembre 2009.

## 03.2 Amélioration du Service Médical Rendu

Cette spécialité n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport au princeps ZAVESCA 100 mg, gélule.

## 04 INFORMATIONS ADMINISTRATIVES ET REGLEMENTAIRES

---

Calendrier d'évaluation	Date d'examen et d'adoption : 13 mai 2020
Présentations concernées	<u>MIGLUSTAT DIPHARMA 100 mg, gélule</u> Boîte de 84 gélules sous plaquettes prédécoupées unitaires (PCTFE/PVC et Aluminium) (CIP : 34009 302 012 8 2)
Demandeur	ARROW GENERIQUES
Liste concernée	Collectivités (CSP L.5123-2)
AMM	Date initiale (procédure d'octroi) : 18/02/2019
Conditions de prescription et de délivrance / statut particulier	Liste I Médicament soumis à prescription hospitalière
Code ATC	A16AX06