7683-B

Gebrauchsinformation: Information für Anwender

Miglustat Gen.Orph 100 mg Hartkapseln

Miglustat

Lesen Sie die gesamte Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Sie mit der Einnahme dieses Arzneimittels beginnen, denn sie enthält wichtige Informationen.
- Heben Sie die Packungsbeilage auf. Vielleicht möchten Sie diese später nochmals lesen.
- Wenn Sie weitere Fragen haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.
- Dieses Arzneimittel wurde Ihnen persönlich verschrieben. Geben Sie es nicht an Dritte weiter. Es kann anderen Menschen schaden, auch wenn diese die gleichen Beschwerden haben wie Sie.
- Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Siehe Abschnitt 4.

Was in dieser Packungsbeilage steht

1. Was ist Miglustat Gen.Orph und wofür wird es angewendet?
2. Was sollten Sie vor der Einnahme von Miglustat Gen.Orph beachten?
3. Wie ist Miglustat Gen.Orph einzunehmen?
4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?
5. Wie ist Miglustat Gen.Orph aufzubewahren?
6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

1. Was ist Miglustat Gen.Orph und wofür wird es angewendet?

Miglustat Gen.Orph enthält den Wirkstoff Miglustat, welcher zu einer Arzneimittelgruppe gehört, die den Stoffwechsel beeinflusst. Es wird zur Behandlung von zwei Krankheiten eingesetzt:
- **Miglustat Gen.Orph wird zur Behandlung der leichten bis mittelschweren Gaucher-Krankheit des Typs 1 bei Erwachsenen verwendet.**

Bei der Gaucher-Krankheit des Typs 1 wird eine Substanz, Glukosylceramid, nicht aus Ihrem Körper entfernt. Sie reichert sich in bestimmten Zellen Ihres Immunsystems an. Dies kann zur Vergrößerung der Leber und Milz, zu Blutveränderungen und zu Knochenerkrankungen führen.

Die übliche Behandlung der Gaucher-Krankheit des Typs 1 ist eine Enzymersatztherapie. Miglustat Gen.Orph wird nur bei Patienten angewendet, für die eine Enzymersatztherapie nicht infrage kommt.
- **Miglustat Gen.Orph wird auch bei der Niemann-Pick-Krankheit Typ C zur Behandlung fortschreitender neurologischer Symptome bei Erwachsenen und Kindern verwendet.**

Wenn Sie an Niemann-Pick-Krankheit Typ C leiden, sammeln sich Fette, wie z. B. Glykosphingolipide, in den Zellen Ihres Gehirns an. Dies kann zu Störungen neurologischer Funktionen wie langsamen Augenbewegungen, des Gleichgewichts, des Schluckens und des Gedächtnisses sowie zu Krampfanfällen führen.

Das Wirkprinzip von Miglustat Gen.Orph ist die Hemmung eines Enzyms, der „Glukosylceramidsynthase“. Es ist verantwortlich für den ersten Schritt in der Synthese der meisten Glykosphingolipide.

2. Was sollten Sie vor der Einnahme von Miglustat Gen.Orph beachten?

Miglustat Gen.Orph darf nicht eingenommen werden,
- wenn Sie allergisch gegen Miglustat oder einen der in Abschnitt 6 genannten sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels sind.

Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen

Bitte sprechen Sie mit Ihrem Arzt oder Apotheker bevor Sie Miglustat Gen.Orph einnehmen
- wenn Sie an einer Nierenerkrankung leiden,
- wenn Sie an einer Lebererkrankung leiden.

Ihr Arzt wird vor und während der Behandlung mit Miglustat Gen.Orph die folgenden Tests durchführen:
- eine Untersuchung zur Kontrolle der Nerven in Ihren Armen und Beinen,
- Messung des Vitamin-B_{12}-Spiegels,
- Überwachung des Wachstums, wenn Sie ein Kind oder Jugendlicher sind und an Niemann-Pick-Krankheit Typ C leiden,
- Kontrolle der Thrombozytenzahl.

Der Grund für diese Tests ist, dass bei einigen Patienten ein Kribbeln oder Taubheitsgefühl in den Händen und Füßen oder eine Gewichtsabnahme während der Einnahme von Miglustat Gen.Orph aufgetreten sind. Aufgrund der Tests kann Ihr Arzt entscheiden, ob diese Effekte auf Ihre Erkrankung oder eine Begleiterkrankung zurückzuführen sind oder ob es sich um Nebenwirkungen von Miglustat Gen.Orph handelt (siehe Abschnitt 4 für weitere Informationen).

Falls Sie Durchfall haben, kann Ihr Arzt Sie gegebenenfalls auffordern, den Gehalt an Laktose und Kohlehydraten wie Saccharose (Haushaltszucker) in Ihrer Ernährung zu vermindern oder Sie auffordern, Miglustat Gen.Orph nicht zusammen mit den Mahlzeiten einzunehmen oder vorübergehend die Dosis von Miglustat Gen.Orph zu verringern. In einigen Fällen kann vom Arzt auch ein Mittel gegen Durchfall wie Loperamid verordnet werden. Bei Patienten mit Niemann-Pick-Krankheit Typ C, die mit Miglustat Gen.Orph behandelt wurden, sind Fälle von Morbus Crohn (entzündliche Darmerkrankung) berichtet worden. Falls Ihr Durchfall sich durch diese Maßnahmen nicht bessert oder Sie an anderen Bauchbeschwerden leiden, suchen Sie bitte Ihren Arzt auf. In diesem Fall wird Ihr Arzt entscheiden, weitere Untersuchungen durchzuführen, um festzustellen, ob es eine andere Ursache für Ihre Symptome gibt.

Männliche Patienten sollen während der Behandlung mit Miglustat Gen.Orph sowie während der 3 auf die Behandlung mit diesem Arzneimittel folgenden Monate eine zuverlässige Methode der Empfängnisverhütung anwenden.

Kinder und Jugendliche

Geben Sie dieses Medikament nicht Kindern und Jugendlichen (unter 18 Jahren) mit Typ-1-Gaucher-Krankheit, weil nicht bekannt ist, ob es bei dieser Krankheit in dieser Altersgruppe wirkt.

Einnahme von Miglustat Gen.Orph zusammen mit anderen Arzneimitteln

Informieren Sie Ihren Arzt oder Apotheker, wenn Sie andere Arzneimittel einnehmen, kürzlich andere Arzneimittel eingenommen haben oder beabsichtigen andere Arzneimittel einzunehmen.

Informieren Sie Ihren Arzt, wenn Sie Arzneimittel, die Imiglucerase enthalten, einnehmen, die gelegentlich zusammen mit Miglustat Gen.Orph angewendet werden. Diese Medikamente können die Menge von Miglustat Gen.Orph in Ihrem Körper verringern.

Schwangerschaft, Stillzeit und Fortpflanzungsfähigkeit

Sie sollten Miglustat Gen.Orph nicht einnehmen, wenn Sie schwanger sind oder eine Schwangerschaft in Betracht ziehen. Während der Behandlung mit Miglustat Gen.Orph müssen Sie eine zuverlässige Methode der Empfängnisverhütung anwenden. Während der Einnahme von Miglustat Gen.Orph dürfen Sie nicht stillen.

Männliche Patienten sollen während der Behandlung mit Miglustat und weitere 3 Monate nach Beendigung der Therapie zuverlässige Methoden zur Empfängnisverhütung anwenden.

Wenn Sie schwanger sind oder stillen, oder wenn Sie vermuten, schwanger zu sein oder beabsichtigen, schwanger zu werden, fragen Sie vor der Einnahme dieses Arzneimittels Ihren Arzt oder Apotheker um Rat.

Verkehrstüchtigkeit und Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen

Die Einnahme von Miglustat Gen.Orph kann Schwindelgefühl verursachen. Führen Sie bei Schwindelgefühl kein Fahrzeug und bedienen Sie keine Werkzeuge oder Maschinen.

Miglustat Gen.Orph enthält Natrium

Dieses Arzneimittel enthält weniger als 1 mmol Natrium (23 mg) pro Hartkapsel, d. h. es ist nahezu „natriumfrei“.

3. Wie ist Miglustat Gen.Orph einzunehmen?

Nehmen Sie dieses Arzneimittel immer genau nach Absprache mit Ihrem Arzt. Fragen Sie bei Ihrem Arzt oder Apotheker nach, wenn Sie sich nicht sicher sind.
- **Bei Gaucher-Krankheit des Typs 1:** Bei Erwachsenen ist die übliche Dosis eine Kapsel (100 mg) dreimal täglich (morgens, nachmittags und abends). Dies bedeutet maximal drei Kapseln pro Tag (300 mg).
- **Bei der Niemann-Pick-Krankheit Typ C:** Bei Erwachsenen und Jugendlichen (über 12 Jahre) ist die übliche Dosis zwei Kapseln (200 mg) dreimal täglich (morgens, nachmittags und abends). Dies bedeutet maximal sechs Kapseln pro Tag (600 mg).

Bei Kindern **unter 12 Jahren**, wird Ihr Arzt die Dosis bei Niemann-Pick-Krankheit Typ C anpassen.

Wenn Sie ein Problem mit Ihren Nieren haben, erhalten Sie gegebenenfalls eine niedrigere Anfangsdosis. Wenn Sie während der Einnahme von Miglustat Gen.Orph an Durchfall leiden (siehe Abschnitt 4), kann Ihr Arzt die Dosis herabsetzen, z. B. auf eine Kapsel (100 mg) einmal oder zweimal täglich. Ihr Arzt wird Ihnen sagen, wie lange Ihre Behandlung dauern wird.

Miglustat Gen.Orph kann mit oder ohne Nahrung eingenommen werden. Schlucken Sie die ganze Kapsel mit einem Glas Wasser.

Wenn Sie eine größere Menge von Miglustat Gen.Orph eingenommen haben als Sie sollten

Wenn Sie mehr Kapseln eingenommen haben als Sie sollten, benachrichtigen Sie unverzüglich Ihren Arzt. In klinischen Studien wurde Miglustat in Dosierungen bis zu 3 000 mg angewendet: dies führte zu einer Abnahme der weißen Blutkörperchen und anderen Nebenwirkungen ähnlich jenen, die in Abschnitt 4 beschriebenen sind.

Wenn Sie die Einnahme von Miglustat Gen.Orph vergessen haben

Nehmen Sie die nächste Kapsel zur gewohnten Zeit ein. Nehmen Sie nicht die doppelte Dosis ein, wenn Sie die vorherige Einnahme vergessen haben.

Wenn Sie die Einnahme von Miglustat Gen.Orph abbrechen

Brechen Sie die Behandlung mit Miglustat Gen.Orph nicht ab, ohne mit Ihrem Arzt zu sprechen.

Wenn Sie weitere Fragen zur Anwendung des Arzneimittels haben, fragen Sie Ihren Arzt oder Apotheker.

4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

Die schwerwiegendsten Nebenwirkungen

Einige Patienten verspürten ein Kribbeln und Taubheitsgefühl in Händen und Füßen (häufig beobachtet). Dies könnten Zeichen einer peripheren Neuropathie infolge von Nebenwirkungen von Miglustat Gen.Orph, aber auch Folgen bestehender Erkrankungen sein. Ihr Arzt wird vor und während der Behandlung mit Miglustat Gen. Orph einige Untersuchungen durchführen, um dies herauszufinden (siehe Abschnitt 2).

Falls bei Ihnen irgendwelche dieser Wirkungen auftreten, fragen Sie bitte so schnell wie möglich Ihren Arzt um Rat.

Wenn Sie einen leichten Tremor (Zittern) bekommen, üblicherweise **zitternde Hände, fragen Sie bitte so schnell wie möglich Ihren Arzt um Rat.** Das Zittern verschwindet häufig, ohne dass die Behandlung beendet werden muss. Gelegentlich muss Ihr Arzt allerdings die Dosis von Miglustat Gen.Orph verringern oder die Behandlung mit Miglustat Gen.Orph abbrechen, um das Zittern zu beenden.

Sehr häufige Nebenwirkungen (kann mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen)
Die häufigsten Nebenwirkungen sind Durchfall, Blähungen, Bauch-/Magenschmerzen, Gewichtsverlust und verminderter Appetit.

Machen Sie sich keine Sorgen, **wenn Sie** zu Beginn der Behandlung mit Miglustat Gen.Orph **etwas Gewicht verlieren**. Im Allgemeinen hört die Gewichtsabnahme im Verlauf der Behandlung von selbst wieder auf.

Häufige Nebenwirkungen (kann bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen)
Zu den häufigen Nebenwirkungen der Behandlung gehören Kopfschmerzen, Schwindel, Parästhesien (Kribbeln und Taubheitsgefühl), Koordinationsstörungen, Hypästhesien (verminderte Berührungsempfindung), Verdauungsstörungen (Sodbrennen), Übelkeit, Verstopfung und Erbrechen, Völlegefühl oder Bauch-/ Magenbeschwerden und Thrombozytopenie (verminderte Blutplättchenzahl). Die neurologischen Symptome und die Thrombozytopenie sind möglicherweise auf die Grundkrankheiten zurückzuführen.

Weitere mögliche Nebenwirkungen sind Muskelkrämpfe oder Schwäche, Erschöpfung, Schüttelfrost und Unwohlsein, Depression, Schlafschwierigkeiten, Vergesslichkeit und verminderte Libido.

Bei den meisten Patienten treten in der Regel eine oder mehrere dieser Nebenwirkungen zu Beginn der Behandlung oder phasenweise während der Behandlung auf. In der Mehrheit sind diese Fälle leichter Natur und klingen schnell wieder ab. Wenn irgendwelche dieser Nebenwirkungen Ihnen Probleme bereiten, sprechen Sie mit Ihrem Arzt. Er wird möglicherweise die Dosis von Miglustat Gen.Orph verringern oder Ihnen andere Arzneimittel zur Bekämpfung der Nebenwirkungen empfehlen.

Meldung von Nebenwirkungen
Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Sie können Nebenwirkungen auch direkt über das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte, Abt. Pharmakovigilanz, Kurt-Georg-Kiesinger Allee 3, D-53175 Bonn, Website: www.bfarm.de anzeigen. Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

5. Wie ist Miglustat Gen.Orph aufzubewahren?

Bewahren Sie dieses Arzneimittel für Kinder unzugänglich auf.

Sie dürfen dieses Arzneimittel nach dem auf dem Umkarton nach "Verwendbar bis" angegebenen Verfalldatum nicht mehr verwenden. Das Verfalldatum bezieht sich auf den letzten Tag des angegebenen Monats.

Für dieses Arzneimittel sind keine besonderen Lagerungsbedingungen erforderlich.

Entsorgen Sie dieses Arzneimittel nicht im Abwasser oder Haushaltsabfall. Fragen Sie Ihren Apotheker, wie das Arzneimittel zu entsorgen ist, wenn Sie es nicht mehr verwenden. Sie tragen damit zum Schutz der Umwelt bei.

6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

Was Miglustat Gen.Orph enthält

- Der Wirkstoff ist:
  Miglustat 100 mg.
- Die sonstigen Bestandteile sind:
  Carboxymethylstärke-Natrium (Typ A),
  Povidon (K30),
  Magnesiumstearat,
  Gelatine,
  Titandioxid (E171).

Siehe Abschnitt 2 „Miglustat Gen.Orph enthält Natrium“

Wie Miglustat Gen.Orph aussieht und Inhalt der Packung
Miglustat Gen.Orph 100 mg Hartkapseln sind Hartgelatinekapseln der Größe 4 mit einem weißen, undurchsichtigen Kapselober- und -unterteil und 14 mm lang.
Packungsgrößen mit 84 Hartkapseln in nicht perforierten Blisterpackungen und 84 x 1 Hartkapseln in perforierten Einzeldosis -Blisterpackungen erhältlich.

Es werden möglicherweise nicht alle Packungsgrößen in den Verkehr gebracht.

Zulassungsinhaber
Gen.Orph
185 Bureaux de la Colline
92213 Saint Cloud Cedex
Frankreich

Hersteller
Centre Lab
ZA Granderaie
23000 Guéret
Frankreich

Parallel vertrieben und umgepackt von:
CC Pharma GmbH, D-54570 Densborn

Falls weitere Informationen über das Arzneimittel gewünscht werden, setzen Sie sich bitte mit dem örtlichen Vertreter des Zulassungsinhabers in Verbindung:

Deutschland
Gen.Orph
Tel: +49 30 8560687897
email: pharmacovigilance.DE@propharmagroup.com

Diese Gebrauchsinformation wurde zuletzt überarbeitet im 09/2026.

Ausführliche Informationen zu diesem Arzneimittel sind auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur: http://www.ema.europa.eu/ verfügbar. Sie finden dort auch Links zu anderen Internetseiten über seltene Erkrankungen und Behandlungen.