



## República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional

### Disposición

**Número:** DI-2021-172-APN-ANMAT#MS

CIUDAD DE BUENOS AIRES

Miércoles 6 de Enero de 2021

**Referencia:** 1-0047-2000-000027-18-6

---

VISTO el Expediente N° 1-0047-2000-000027-18-6 del Registro de esta ADMINISTRACIÓN NACIONAL DE MEDICAMENTOS, ALIMENTOS Y TECNOLOGÍA MÉDICA y

#### CONSIDERANDO:

Que por las referidas actuaciones la firma LABORATORIOS ASPEN SA solicita se autorice la inscripción en el Registro de Especialidades Medicinales (REM) de esta ADMINISTRACIÓN NACIONAL DE MEDICAMENTOS, ALIMENTOS Y TECNOLOGÍA MÉDICA de una nueva especialidad medicinal que será elaborada en la República Argentina.

Que de la mencionada especialidad medicinal existe un producto similar registrado en la República Argentina.

Que las actividades de elaboración y comercialización de especialidades medicinales se encuentran contempladas en la Ley 16.463 y en los Decretos Nros. 9.763/64 y 150/92 (t.o. 1993) y sus normas complementarias.

Que la solicitud efectuada encuadra en el Artículo 3° del Decreto N° 150/92 (t.o. 1993).

Que el INSTITUTO NACIONAL DE MEDICAMENTOS (INAME) emitió los informes técnicos pertinentes en los que constan los Datos Identificatorios Característicos aprobados por cada una de las referidas áreas para la especialidad medicinal cuya inscripción se solicita, los que se encuentran transcritos en el certificado que obra en el Anexo de la presente disposición.

Que asimismo, de acuerdo con lo informado, el/los establecimiento/s que realizará/n la elaboración y el control de calidad de la especialidad medicinal en cuestión demuestran aptitud a esos efectos.

Que se aprobaron los proyectos de rótulos y prospectos y el Plan de Gestión de Riesgo correspondientes.

Que la DIRECCIÓN DE ASUNTOS JURÍDICOS ha tomado la intervención de su competencia.

Que por lo expuesto corresponde autorizar la inscripción en el REM de la especialidad medicinal solicitada.

Que se actúa en ejercicio de las facultades conferidas por el Decreto Nro. 1490/92 y sus modificatorios.

Por ello,

EL ADMINISTRADOR NACIONAL DE LA ADMINISTRACIÓN NACIONAL DE  
MEDICAMENTOS, ALIMENTOS Y TECNOLOGÍA MÉDICA

DISPONE:

ARTÍCULO 1º.- Autorízase a la firma LABORATORIOS ASPEN SA la inscripción en el Registro de Especialidades Medicinales (REM) de la ADMINISTRACIÓN NACIONAL DE MEDICAMENTOS, ALIMENTOS Y TECNOLOGÍA MÉDICA de la especialidad medicinal de nombre comercial GLITIR y nombre/s genérico/s MIGLUSTAT , la que será elaborada en la República Argentina de acuerdo con los datos identificatorios característicos incluidos en el Certificado de Inscripción, según lo solicitado por la firma LABORATORIOS ASPEN SA.

ARTÍCULO 2º.-Autorízanse los textos de los proyectos de rótulo/s y de prospecto/s que obran en los documentos denominados: INFORMACIÓN PARA EL PACIENTE\_VERSION03.PDF / 0 - 24/11/2020 12:31:17, PROYECTO DE PROSPECTO\_VERSION03.PDF / 0 - 24/11/2020 12:31:17, PROYECTO DE RÓTULO DE ENVASE PRIMARIO\_VERSION03.PDF / 0 - 24/11/2020 12:31:17, PROYECTO DE RÓTULO DE ENVASE SECUNDARIO\_VERSION03.PDF / 0 - 24/11/2020 12:31:17 .

ARTÍCULO 3º.- En los rótulos y prospectos autorizados deberá figurar la leyenda: “ESPECIALIDAD MEDICINAL AUTORIZADA POR EL MINISTERIO DE SALUD CERTIFICADO N°”, con exclusión de toda otra leyenda no contemplada en la norma legal vigente.

ARTÍCULO 4º.- Con carácter previo a la comercialización de la especialidad medicinal cuya inscripción se autoriza por la presente disposición, el titular deberá notificar a esta Administración Nacional la fecha de inicio de la elaboración del primer lote a comercializar a los fines de realizar la verificación técnica consistente en la constatación de la capacidad de producción y de control correspondiente.

ARTÍCULO 5º.- Establécese que la firma LABORATORIOS ASPEN SA deberá cumplir con el Plan de Gestión de Riesgo (PGR) que obra en el documento denominado PLAN DE GESTIÓN DE RIESGO\_VERSION02.PDF / 0 - 10/12/2020 17:03:02 aprobado.

ARTÍCULO 6º.- En caso de incumplimiento de la obligación prevista en el artículo precedente, esta Administración Nacional podrá suspender la comercialización del producto autorizado por la presente disposición cuando consideraciones de salud pública así lo ameriten.

ARTÍCULO 7º.- La vigencia del Certificado mencionado en el Artículo 1º de la presente disposición será de cinco (5) años contados a partir de la fecha impresa en él.

ARTÍCULO 8º.- Regístrese. Inscríbese el nuevo producto en el Registro de Especialidades Medicinales. Notifíquese electrónicamente al interesado la presente disposición, los proyectos de rótulos y prospectos y el Plan

de Gestión de Riesgo (PGR) aprobados. Gírese al Departamento de Registro a los fines de confeccionar el legajo correspondiente. Cumplido, archívese.

EXPEDIENTE N° 1-0047-2000-000027-18-6

Digitally signed by LIMERES Manuel Rodolfo  
Date: 2021.01.06 12:00:27 ART  
Location: Ciudad Autónoma de Buenos Aires

Manuel Limeres  
Administrador Nacional  
Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología  
Médica

Digitally signed by Gestion Documental  
Electronica  
Date: 2021.01.06 12:00:30 -03:00

## Proyecto de Información para el paciente

### GLITIR MIGLUSTAT cápsulas duras

VENTA BAJO RECETA

INDUSTRIA ARGENTINA

**Lea todo el prospecto detenidamente antes de empezar a tomar este medicamento, porque contiene información importante para usted.**

- Conserve este prospecto, ya que puede tener que volver a leerlo.
- Si tiene alguna duda, consulte a su médico o farmacéutico.
- Este medicamento se le ha recetado solamente a usted y no debe dárselo a otras personas, aunque tengan los mismos síntomas que usted, ya que puede perjudicarles.

Si experimenta efectos adversos, consulte a su médico, incluso si se trata de efectos adversos que no aparecen en este prospecto.

#### Contenido del prospecto:

1. Qué es GLITIR y para qué se utiliza?
2. Qué necesita saber antes de empezar a tomar GLITIR?
3. Cómo tomar GLITIR?
4. Posibles efectos adversos.
5. Conservación de GLITIR.
6. Contenido del envase e información adicional.

#### 1. Qué es GLITIR y para qué se utiliza?

GLITIR contiene la sustancia activa miglustat que pertenece a un grupo de medicamentos que tienen efecto sobre el metabolismo. Se usa para tratar dos trastornos:

- **GLITIR se usa para tratar la enfermedad de Gaucher tipo 1 leve-moderada en adultos.**

En la enfermedad de Gaucher tipo 1, su cuerpo no puede eliminar una sustancia denominada glucosilceramida. Debido a ello se acumula en algunas células de su sistema inmunitario. Esto puede dar lugar a que le aumente de tamaño el hígado y el bazo, se produzcan cambios en la sangre y le afecte a los huesos.

El tratamiento habitual para la enfermedad de Gaucher tipo 1 consiste en la terapia enzimática de sustitución (TES). GLITIR sólo se utilizará en aquellos casos en los que se considere que la terapia enzimática de sustitución no es adecuada para el paciente.

- **GLITIR también se usa para el tratamiento de los síntomas neurológicos progresivos de la enfermedad de Niemann-Pick C en adultos y en niños.**

Si usted tiene la enfermedad de Niemann-Pick C, pueden acumularse en las células de su cerebro lípidos como la glucosilceramida. Esto puede conllevar una alteración de las funciones neurológicas como lentitud de los movimientos oculares, el equilibrio, la deglución, la memoria o las convulsiones, GLITIR actúa inhibiendo la enzima denominada glucosilceramida sintetasa, responsable del primer paso en la síntesis de la mayoría de glucoesfingolípidos.

#### 2. Qué necesita saber antes de empezar a tomar GLITIR?

##### **No tome GLITIR /Está contraindicado**

si es alérgico al miglustat o a cualquiera de los demás componentes de este medicamento, **Si esto le sucede a usted, comuníquese a su doctor. No tome GLITIR.**

#### Advertencias y precauciones

Consulte a su médico antes de empezar a tomar GLITIR

- si padece enfermedad renal
- si padece enfermedad hepática
- si padece enfermedad inflamatoria intestinal

Su médico realizará las siguientes pruebas antes y durante su tratamiento con GLITIR:

- exploración física de los nervios de los brazos y piernas
- medición de los niveles de vitamina B<sub>12</sub>
- Monitorización del crecimiento en niños o adolescentes con enfermedad de Niemann-Pick C
- Monitorización del recuento de plaquetas en sangre

Estas pruebas son necesarias debido a que algunos pacientes han comunicado síntomas como hormigueo o entumecimiento en manos y pies, o una reducción del peso corporal durante el tratamiento con GLITIR. Las pruebas ayudarán al médico a determinar si estos efectos se deben a su enfermedad o a condiciones ya existentes o son efectos adversos de GLITIR.

Si usted padece diarrea, su médico puede solicitarle que modifique su dieta para reducir la ingesta de lactosa e hidratos de carbono tales como la sacarosa (azúcar de caña), o no tomar GLITIR junto con los alimentos, o reducir temporalmente la dosis. En algunos casos el médico puede recetarle medicamentos para tratar la diarrea, como la loperamida. Consulte a su Médico si la diarrea no responde a estas medidas o si presenta cualquier otra molestia abdominal. En dicho caso, su médico puede decidir realizar exploraciones adicionales. Se aconseja a los pacientes varones que empleen métodos anticonceptivos fiables durante el tratamiento con GLITIR y hasta tres meses después de finalizar el mismo.

### Niños y adolescentes

No administre este medicamento a niños y adolescentes (menores de 18 años de edad) con enfermedad de Gaucher tipo 1 porque se desconoce si funciona en esta enfermedad.

### Uso de GLITIR con otros medicamentos

Informe a su médico si está tomando o ha tomado recientemente o podría tener que tomar cualquier otro medicamento, incluso los adquiridos sin receta (venta libre).

Informe a su médico si está tomando medicamentos que contienen imiglucerasa, que a veces se utilizan al mismo tiempo que GLITIR. Pueden disminuir la cantidad de GLITIR en su cuerpo.

### Embarazo, lactancia y fertilidad

No tome GLITIR si está embarazada o tiene intención de quedarse embarazada.

Para más información, consulte con su médico. Deberá emplear un método anticonceptivo eficaz mientras esté tomando GLITIR. No debe proseguir con la lactancia mientras tome GLITIR. Los pacientes varones deberán utilizar un método anticonceptivo fiable durante el tratamiento con GLITIR, y durante los tres meses siguientes tras finalizar el tratamiento.

Si está embarazada o en periodo de lactancia, cree que podría estar embarazada o tiene intención de quedar embarazada, consulte a su médico antes de utilizar este medicamento.

### Conducción y uso de máquinas

GLITIR puede producirle mareos. No conduzca ni maneje herramientas o máquinas si se siente mareado.

### 3. Cómo tomar GLITIR

Siga exactamente las instrucciones de administración de este medicamento indicadas por su médico. En caso de duda, consulte de nuevo a su médico o farmacéutico.

- **Para la enfermedad de Gaucher tipo 1:** En adultos, la dosis normal es de una cápsula (100 mg) tres veces al día (mañana, tarde, noche), lo cual supone una dosis máxima diaria de tres cápsulas (300 mg).
- **Para la enfermedad de Niemann-Pick C:** En adultos y adolescentes (mayores de 12 años), la dosis normal es 2 cápsulas (200 mg) tres veces al día (mañana, tarde y noche). Esto supone un máximo diario de seis cápsulas (600 mg).

Para niños de menos de 12 años, su médico ajustará la dosis para la enfermedad de Niemann-Pick C. En el caso de problemas de riñón, su médico puede indicarle una dosis inicial inferior.

Es posible que su médico reduzca la dosis de GLITIR a una cápsula (100 mg) una o dos veces al día en el caso de que se presente diarrea durante el tratamiento con GLITIR. Su médico le indicará la duración del tratamiento.

GLITIR puede tomarse con o sin alimentos. Debe tragarse la cápsula entera con un vaso de agua, sin masticar ni triturar.

#### **Si toma más GLITIR del que debiera**

Si usted toma más cápsulas de las que se le indicó, consulte a su médico inmediatamente. En ensayos clínicos se ha empleado GLITIR a dosis diez veces superiores a la dosis recomendada: esto causó una reducción de los leucocitos sanguíneos y otros efectos secundarios similares a los descritos.

#### **Si olvidó tomar GLITIR**

Tome la siguiente cápsula cuando corresponda. No tome una dosis doble para compensar las dosis olvidadas.

#### **Si interrumpe el tratamiento con GLITIR**

No interrumpa el tratamiento con GLITIR sin consultar con su médico. Si tiene cualquier

otra duda sobre el uso de este medicamento, pregunte a su médico.

#### **4. Posibles efectos adversos**

Al igual que todos los medicamentos, este medicamento puede producir efectos adversos, aunque no todas las personas los sufren.

Efectos adversos más graves:

**Algunos pacientes han presentado hormigueo o entumecimiento de las manos y los pies (se observa con frecuencia).** Estos podrían ser signos de neuropatía periférica, debida a efectos secundarios de GLITIR o podrían ser debidos a enfermedades ya existentes. Su médico realizará pruebas antes y durante el tratamiento con GLITIR para evaluar su caso.

**Si presenta alguno de estos efectos, comuníquelo a su médico lo antes posible.**

**Si usted experimenta un ligero temblor**, habitualmente temblor en las **manos, informe a su médico lo antes posible.** Con frecuencia el temblor se resuelve sin necesidad de interrumpir el tratamiento. En ocasiones su médico necesitará disminuir la dosis e incluso interrumpir el tratamiento con GLITIR para controlar el temblor.

**Muy frecuentes - pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes**

Entre los efectos adversos más frecuentes se encuentran diarrea, flatulencia (gases), dolor abdominal (de estómago), pérdida de peso y disminución del apetito.

**Si pierde algo de peso** al iniciar el tratamiento con GLITIR, no se preocupe, por lo general la gente deja de perder peso con la continuación del tratamiento.

**Frecuentes - pueden afectar hasta 1 de cada 100 pacientes**

Los efectos adversos frecuentes son dolor de cabeza, mareos, parestesias (hormigueo o entumecimiento), alteraciones de la coordinación, hipoestusias (sensación reducida al tacto), dispepsia (acidez), náuseas (sentirse mareado), estreñimiento y vómitos, hinchazón o molestia del abdomen (estómago) y trombocitopenia (disminución de los niveles sanguíneos de plaquetas). Los síntomas neurológicos y la trombocitopenia pueden deberse a la enfermedad subyacente.

Otros posibles efectos adversos son espasmos musculares o debilidad, fatiga, escalofríos y sensación de malestar, dificultad para dormir, olvidos y disminución de la libido.

La mayoría de los pacientes notan uno o más efectos secundarios de este tipo, normalmente al iniciar el tratamiento o en distintos momentos durante el mismo. La mayoría son leves y se resuelven con bastante rapidez. Si alguno de estos efectos adversos le causa problemas consulte con su médico. Él o ella puede que

reduzca la dosis de GLITIR o le recete otros medicamentos para controlar los efectos secundarios.

**Si experimenta efectos adversos o si considera que alguno de los efectos adversos es grave, consulte a su médico, incluso si se trata de efectos adversos que no aparecen en este prospecto.**

Ante la eventualidad de una sobredosificación dirigirse al Hospital más cercano o comunicarse con los centros de toxicología:

Hospital de Pediatría Ricardo Gutiérrez. Tel: (011) 4962-6666/2247

Hospital A. Posadas. (011) 4654-6648 ó 4658-7777

## 5. Conservación de GLITIR

**Mantener este medicamento fuera de la vista y del alcance de los niños.**

No utilice este medicamento después de la fecha de caducidad que aparece en el envase. La fecha de caducidad es el último día del mes que se indica.

Conservar a temperatura no mayor a 30°C.

Los medicamentos no se deben tirar por los desagües ni a la basura. Pregunte a su farmacéutico cómo deshacerse de los envases y de los medicamentos que ya no necesita. De esta forma ayudará a proteger el medio ambiente.

## 6. Contenido del envase e información adicional

### Composición de GLITIR

El principio activo es miglustat 100 mg.

Los demás componentes son:

Almidón glicolato sódico,  
Povidona (K30)  
Estearato magnésico  
Gelatina,  
Dióxido de titanio (E171)

### Aspecto del producto y contenido del envase

GLITIR es una cápsula blanca de 100 mg

Estuche de cartulina conteniendo 9 blíster con 10 cápsulas cada uno, para un total de 90 cápsulas.

Especialidad Medicinal autorizada por el Ministerio de Salud.

Certificado N°: .....

**"Este medicamento ha sido prescripto sólo para su problema médico actual. No se lo recomiende a otras personas."**

**MEDICAMENTO: MANTENGASE FUERA DEL ALCANCE DE LOS NIÑOS.**

Fecha de última revisión: .../...../.....

Elaborador en: VIRGILIO N° 844/856, CABA

Laboratorios ASPEN S.A. Remedios 3439/43, CAB/

LIMERES Manuel Rodolfo  
CUIL 20047031932

Ante cualquier inconveniente con el producto el paciente puede que está en la Página Web de la ANMAT: <http://www.anmat.gov.ar/farmacovigilancia/comunicar.asp> o llamar a ANMAT responde 0800-333-1234

DURANTE Lorena Natalia  
CUIL 27225819705

JUAREZ Miriam Patricia  
CUIL 27144337595



## PROYECTO DE PROSPECTO

### GLITIR MIGLUSTAT Cápsulas duras

VENTA BAJO RECETA

INDUSTRIA ARGENTINA

#### FORMULA CUALITATIVA Y CUANTITATIVA

Cada cápsula dura contiene: Miglustat 100 mg

#### EXCIPIENTES:

##### Contenido de la cápsula

Estearato de magnesio...0.831 mg; Glicolato sódico de almidón...5.540 mg Povidona K30... 4.432 mg

**Cubierta de la cápsula** Gelatina: 49,24 mg y Dióxido de titanio: 0,76 mg

#### FORMA FARMACÉUTICA

Cápsula dura de color blanco.

#### ACCIÓN TERAPÉUTICA

**Código ATC:** A16AX06

La acción inhibitoria del Miglustat es sobre la glucosilceramida sintetasa constituye la base para la terapia de reducción de sustrato en la enfermedad de Gaucher.

En general, los datos muestran que el tratamiento con GLITIR puede reducir la progresión de los síntomas clínicos neurológicos relevantes en pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C.

#### INDICACIONES

GLITIR está indicado en el tratamiento oral de pacientes adultos con la enfermedad de Gaucher tipo 1 leve o moderada. GLITIR se utilizará únicamente en aquellos casos en los que no sea adecuado el tratamiento enzimático sustitutivo (ver "Acción farmacológica" y "Advertencias y precauciones").

GLITIR está indicado para el tratamiento de las manifestaciones neurológicas progresivas en pacientes adultos y pacientes pediátricos con enfermedad de Niemann-Pick C (ver "Acción farmacológica" y "Advertencias y precauciones").

#### CARACTERÍSTICAS FARMACOLÓGICAS

##### **Acción farmacológica**

##### Enfermedad de Gaucher tipo 1

La enfermedad de Gaucher es un trastorno hereditario del metabolismo debido a un fallo en la degradación de la glucosilceramida, lo que provoca su acumulación en los Lisosomas y produce una patología generalizada. Inhibe la glucosilceramida sintetasa, la enzima responsable de la primera fase de la síntesis de la mayoría de los glucolípidos. La glucosilceramida sintetasa in vitro es inhibida por Miglustat con una IC50 de 20-37  $\mu\text{M}$ . Además, se ha demostrado experimentalmente in vitro la acción inhibitoria de una glucosilceramida no lisosomal. La acción inhibitoria de la glucosilceramida sintetasa constituye la base para la terapia de reducción de sustrato en la enfermedad de Gaucher.

El ensayo fundamental de GLITIR se realizó en pacientes que no podían o no querían recibir TES. Los motivos para no recibir la TES incluían el inconveniente que suponen las Infusiones intravenosas, así como las dificultades de conseguir adecuado acceso venoso. En este ensayo clínico no comparativo, de 12 meses de duración, se Incluyeron veintiocho pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1 leve o moderada, de los cuales 22 completaron el estudio. A los 12 meses se observó una media de reducción del 12,1% en la hepatomegalia y del 19,0% en la esplenomegalia. Se observó una media de incremento en la concentración de hemoglobina de 0,26 g/dl, y de  $8,29 \times 10^9/l$  en el recuento de plaquetas. Dieciocho pacientes optaron por continuar su



tratamiento con GLITIR en el contexto de un protocolo de tratamiento a largo plazo. El beneficio clínico se ha evaluado a los 24 y a los 36 meses en 13 pacientes. Tras tratamiento continuado con GLITIR durante 3 años, la reducción media de la hepato y esplenomegalia fue del 17,5% y 29,6%, respectivamente. Se observó una media de aumento de  $22,2 \times 10^9/l$  en el recuento de plaquetas y de 0,95 g/dl en la concentración de hemoglobina.

En otro estudio abierto controlado, 36 pacientes (que habían seguido terapia enzimática de sustitución (TES) durante al menos 2 años fueron asignados aleatoriamente a tres grupos de tratamiento: seguir con el tratamiento con Cerezyme y añadir GLITIR, o suspender el tratamiento con Cerezyme y sustituirlo por GLITIR. Este estudio aleatorizado y comparado tuvo una duración de 6 meses seguido de una extensión a 18 meses en que todos los pacientes recibieron monoterapia con GLITIR. En los 6 primeros meses, en pacientes que cambiaron a GLITIR se observó que el volumen de hígado y bazo y los niveles de hemoglobina se mantuvieron invariables. En algunos pacientes se observó un descenso en el recuento de plaquetas, así como aumento en la actividad de quitotriosidasa, lo que indica que la monoterapia con GLITIR puede no mantener el mismo control de la actividad de la enfermedad en todos los pacientes. 29 pacientes continuaron en el periodo de extensión. Cuando se compararon con los registros a 6 meses, el control de la enfermedad se mantuvo sin cambios después de 18 y 24 meses de monoterapia con GLITIR, (20 y 6 pacientes, respectivamente). Ningún paciente mostró rápido deterioro de la enfermedad de Gaucher tipo 1 tras el cambio a monoterapia con GLITIR. En los dos estudios citados anteriormente se utilizó una dosis total diaria de 300 mg de GLITIR repartida en tres dosis iguales. Se realizó un estudio adicional con monoterapia en 18 pacientes utilizando una dosis diaria total de 150 mg con resultados que indican una menor eficacia frente a la dosis diaria total de 300 mg.

Las manifestaciones óseas de la enfermedad de Gaucher tipo 1 fueron evaluadas en 3 ensayos clínicos abiertos en pacientes tratados con 100 mg tres veces al día durante periodos de hasta 2 años (n=72). En un análisis combinado de datos no controlados, el índice Z de puntuación de densidad mineral ósea en la columna lumbar y en el cuello femoral aumentó en más de 0,1 unidades respecto al basal en 27 (57%) y 28 (65%) de los pacientes con mediciones de densidad del hueso longitudinal. No hubo eventos de crisis óseas, necrosis avascular o fractura durante el periodo de tratamiento.

### Enfermedad de Niemann-Pick C

La enfermedad de Niemann-Pick C es un trastorno neurodegenerativo muy raro. Invariablemente progresivo y finalmente fatal, caracterizado por una alteración del transporte intracelular de lípidos. Las manifestaciones neurológicas se consideran secundarias a la acumulación anormal de glucoesfingolípidos en las neuronas y células de la glía.

Los datos que apoyan la seguridad y eficacia de GLITIR en la enfermedad de Niemann-Pick C proceden de un ensayo clínico prospectivo, abierto y de una revisión retrospectiva. El ensayo clínico incluyó 29 pacientes adultos y pediátricos en un periodo de control de 12 meses seguido de una terapia de extensión con una duración total media de 3,9 años y hasta 5,6 años. Además, 12 pacientes pediátricos fueron incluidos en un subestudio no controlado de una duración global media de 3,1 años y hasta 4,4 años. Entre los 41 pacientes incluidos en el ensayo, 14 pacientes fueron tratados con GLITIR durante más de 3 años. La revisión incluyó una serie de casos de 66 pacientes tratados con GLITIR fuera del ensayo clínico durante una media de 1,5 años. Ambos conjuntos de datos incluyeron pacientes pediátricos, adolescentes y adultos con un rango de edad de 1 a 43 años. La dosis habitual de GLITIR en pacientes adultos era de 200 mg t.i.d. y fue ajustada en función del área de superficie corporal en pacientes pediátricos.

En general, los datos muestran que el tratamiento con GLITIR puede reducir la progresión de los síntomas clínicos neurológicos relevantes en pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C.

El beneficio del tratamiento con GLITIR para las manifestaciones neurológicas de la enfermedad de Niemann-Pick C debería ser evaluado regularmente, esto es, cada 6 meses; la continuación del tratamiento debe volver a evaluarse después de un año de tratamiento con GLITIR.

### FARMACOCINÉTICA

Los parámetros farmacocinéticos de Miglustat se evaluaron en individuos sanos, en un grupo reducido de pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1, enfermedad de Fabry, pacientes infectados por el VIH y adultos, adolescentes y niños con la enfermedad de Niemann-Pick C o enfermedad de Gaucher tipo 3. La cinética de Miglustat parece ser lineal con respecto a la dosis e independiente respecto al tiempo. En individuos sanos se absorbe rápidamente. Las concentraciones plasmáticas máximas se alcanzan aproximadamente a las dos horas de la toma del medicamento.

La farmacocinética de Miglustat es similar en pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1 del adulto y en pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C, comparado con sujetos sanos. Los datos farmacocinéticos fueron obtenidos en pacientes pediátricos con enfermedad de Gaucher tipo 3, con edades comprendidas entre 5-16 años. En niños, la dosis de 200 mg tres veces al día ajustada a la superficie de área corporal resultó en unos valores de  $C_{m\acute{a}x}$  y AUC, que fueron aproximadamente el doble de aquellos alcanzados con 100 mg tres

veces al día en pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1, consistentes con la farmacocinética dosis-lineal de Miglustat. En el estado estacionario, la concentración de Miglustat en el fluido cerebroespinal de seis pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 3 fue 31,4 - 67,2% de la plasmática.

## **POSOLOGÍA Y MODO DE ADMINISTRACIÓN**

El tratamiento debe ser dirigido por un médico con conocimientos sobre el tratamiento de la enfermedad de Gaucher o de la enfermedad de Niemann-Pick C, respectivamente.

GLITIR puede tomarse con o sin comida.

### Posología en enfermedad de Gaucher tipo 1

Para el tratamiento de pacientes adultos con la enfermedad de Gaucher tipo 1 se recomienda una dosis inicial de 100 mg administrada tres veces al día.

Temporalmente, puede resultar necesario reducir la dosis a 100 mg una o dos veces al día en caso de producirse diarrea.

No se cuenta con experiencia del uso de GLITIR en pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1 menores de 18 años. Por lo tanto, no se recomienda el uso de GLITIR en niños o adolescentes con enfermedad de Gaucher tipo 1. No se dispone de experiencia en el uso de GLITIR en pacientes mayores de 70 años de edad.

### Posología en enfermedad de Niemann-Pick C

La dosis recomendada para el tratamiento de pacientes adultos y adolescentes con enfermedad de Niemann-Pick C es de 200 mg tres veces al día.

La dosis en pacientes menores de 12 años de edad debería ajustarse en base al área de superficie corporal, como se ilustra a continuación:

<b>Área de superficie corporal (m<sup>2</sup>)</b>	<b>Dosis recomendada</b>
>1.25	200 mg tres veces al día
>0.88 - 1.25	200 mg dos veces al día
>0.73 – 0.88	100 mg tres veces al día
>0.47 – 0.73	100 mg dos veces al día
≤0.47	100 mg una vez al día

La reducción temporal de la dosis puede ser necesaria en algunos pacientes debido a la diarrea.

El beneficio para el paciente del tratamiento con GLITIR debe ser evaluado regularmente (ver "Precauciones y Advertencias").

Hay experiencia limitada con el uso de GLITIR en pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C menores de cuatro años.

### Insuficiencia renal

Los datos farmacocinéticos indican un aumento de la exposición sistémica al Miglustat en pacientes con insuficiencia renal. En pacientes con aclaramiento de creatinina corregido de 50-70 ml/min/1,73 m<sup>2</sup> debe iniciarse la administración de GLITIR con una dosis de 100 mg dos veces al día, en pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1, y a una dosis de 200 mg dos veces al día (ajustado según el área de superficie corporal en pacientes menores de 12 años) en pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C. En pacientes con aclaramiento de creatinina corregido de 30-50 ml/min/1,73 m<sup>2</sup> deberá iniciarse la administración de GLITIR con una dosis de una única cápsula de 100 mg al día, en pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1 y una dosis de 100 mg dos veces al día (ajustado según el área de superficie corporal en pacientes menores de 12 años) en pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C. No se recomienda el uso de GLITIR en pacientes con insuficiencia renal severa (aclaramiento de creatinina < 30 ml/min/1,73 m<sup>2</sup>) (ver secciones 5.2 y 8).

### Insuficiencia Hepática

No se ha evaluado GLITIR en pacientes con insuficiencia hepática.

## **CONTRAINDICACIONES**

Hipersensibilidad al principio activo o a sus componentes. **Embarazo y lactancia:** El medicamento requiere sistemas de planificación familiar (contracepción) tanto para hombres como para mujeres. Insuficiencia renal severa, insuficiencia hepática, enfermedad inflamatoria intestinal.

## **ADVERTENCIAS Y PRECAUCIONES**

Aunque no se ha contrastado el tratamiento con GLITIR directamente con la Terapia Enzimática de Sustitución

(TES) en pacientes previamente no tratados con enfermedad de Gaucher tipo 1, no existen indicios de que GLITIR tenga una eficacia y seguridad superior con respecto a TES. La TES es el tratamiento estándar para pacientes que precisan terapia para la enfermedad de Gaucher tipo 1 (ver "Acción Farmacológica"). No se han evaluado específicamente ni la eficacia ni la seguridad de GLITIR en pacientes con enfermedad de Gaucher grave.

Aproximadamente el 38% de los pacientes en ensayos clínicos con enfermedad de Gaucher tipo 1, y el 58% de los pacientes en un ensayo clínico en enfermedad de Niemann-Pick C tratados con Miglustat padecen temblor. En la enfermedad de Gaucher tipo 1, este temblor se ha descrito como un temblor fisiológico exagerado de las manos. Normalmente los temblores se presentan durante el primer mes, resolviéndose, en muchos casos durante el tratamiento, al cabo de entre uno y tres meses. La disminución de la dosis puede mejorar el temblor, por lo general en unos días, si bien a veces puede resultar necesario interrumpir el tratamiento.

Se recomienda un control regular de los niveles de vitamina B12 debido a la alta prevalencia de déficit de vitamina B12 en pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1.

Se han notificado casos de neuropatía periférica en pacientes tratados con GLITIR en presencia y ausencia de patologías concomitantes, como pueden ser el déficit en vitamina B12 y la gammapatía monoclonal. La neuropatía periférica parece ser más común en pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1 en comparación con la población general. Todos los pacientes deberán someterse a una evaluación neurológica basal y periódica. Los pacientes que desarrollen síntomas de entumecimiento y hormigueo deberán someterse nuevamente a una evaluación exhaustiva de los riesgos y beneficios del tratamiento.

Se han comunicado trastornos gastrointestinales, principalmente diarrea, en más del 80% de los pacientes, bien al inicio del tratamiento o de forma intermitente durante el mismo.

Probablemente el mecanismo sea la inhibición de las disacaridasas en el tracto gastrointestinal. En la mayoría de los casos son leves y cabe esperar que se resuelvan espontáneamente durante el tratamiento. En la práctica clínica se ha observado que la diarrea responde a modificaciones de la dieta (reducción de la ingesta de lactosa y de otros hidratos de carbono), a la administración de GLITIR entre comidas y/o al tratamiento con productos medicinales antidiarreicos como la loperamida. En algunos pacientes puede ser necesaria la reducción temporal de la dosis. De acuerdo con la práctica clínica, se deben descartar otras etiologías en aquellos pacientes que presenten diarrea crónica u otros trastornos gastrointestinales persistentes que no respondan a estas medidas. No se ha evaluado el uso de GLITIR en pacientes con antecedentes de patología gastrointestinal significativa, incluida la enfermedad inflamatoria intestinal.

Los pacientes varones deberán mantener una anticoncepción eficaz mientras dure el tratamiento con GLITIR. Los estudios realizados en ratas han demostrado que Miglustat tiene un efecto adverso sobre la espermatogénesis y parámetros espermáticos y que disminuye la fertilidad. Hasta que no se disponga de más información, los pacientes varones deberán suspender el tratamiento con GLITIR antes de realizar intentos de concepción y mantener métodos anticonceptivos fiables durante los tres meses siguientes a la suspensión.

Teniendo en cuenta la experiencia limitada existente, GLITIR deberá emplearse con cautela en pacientes con insuficiencia renal o hepática. Existe una estrecha relación entre la función renal y el aclaramiento de miglustat, y existe un importante aumento en la exposición al Miglustat en pacientes con insuficiencia renal grave. Actualmente no se cuenta con experiencia clínica suficiente en estos pacientes para efectuar recomendaciones de posología.

No se recomienda el uso de GLITIR en pacientes con insuficiencia renal grave (aclaramiento de creatinina < 30 ml/min/1,73 m<sup>2</sup>).

### Enfermedad de Niemann-Pick C

El beneficio del tratamiento con GLITIR para las manifestaciones neurológicas en pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C debe evaluarse regularmente, esto es, cada 6 meses; la continuación del tratamiento debe volver a evaluarse después de al menos un año de tratamiento con GLITIR. Se ha informado de una reducción del crecimiento en algunos pacientes pediátricos con enfermedad de Niemann-Pick C en la fase temprana de tratamiento con miglustat, donde el reducido incremento de peso inicial puede acompañarse de un reducido aumento de la estatura. El crecimiento debería monitorizarse en pacientes pediátricos y adolescentes durante el tratamiento con GLITIR; el balance beneficio/riesgo debería ser reevaluado individualmente para la continuación de la terapia.

En algunos pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C tratados con GLITIR se observaron reducciones leves del recuento de plaquetas sin asociarse a hemorragias. En los pacientes incluidos en el ensayo clínico, un 40%-50% de los pacientes tenían recuentos de plaquetas por debajo del límite inferior de normalidad basal. En estos pacientes se recomienda monitorizar el recuento de plaquetas.

### Interacción con otros medicamentos y otras formas de interacción



Existen datos limitados que sugieren que la administración simultánea de GLITIR y Cerezyme en pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1 puede dar lugar a una disminución de la exposición al Miglustat (en un pequeño estudio en grupos paralelos se observó una reducción de aproximadamente el 22% en  $C_{m\acute{a}x}$  y una disminución del 14% en el AUC de miglustat). Asimismo, en este estudio se constató un efecto nulo o limitado de GLITIR en la farmacocinética de Cerezyme.

## **REACCIONES ADVERSAS**

En nueve ensayos clínicos en diferentes indicaciones 206 pacientes fueron tratados con GLITIR a dosis de 50-200 mg tres veces al día durante una duración media de 2,2 años. De estos, 90 pacientes tenían enfermedad de Gaucher tipo 1, y 40 tenían enfermedad de Niemann-Pick C. Las reacciones adversas fueron en general de intensidad leve a moderada y ocurrieron con una frecuencia similar en las diferentes indicaciones y dosis probadas. Las reacciones adversas más frecuentes fueron gastrointestinales, con diarrea y otras molestias abdominales, así como pérdida de peso.

A continuación, se incluyen las reacciones adversas a medicamentos que se produjeron durante el tratamiento y que se consideraron relacionadas con el mismo por el investigador. Estas reacciones adversas ocurrieron en >1% de los pacientes y se clasifican según el sistema de clasificación de órganos y por frecuencia (muy frecuentes  $\geq 1/10$ , frecuentes  $\geq 1/100$  y  $< 1/10$ ). Las reacciones adversas se enumeran en orden decreciente de gravedad dentro de cada intervalo de frecuencia.

### Trastornos de la sangre y del sistema

Linfático Frecuentes: Trombocitopenia

### Trastornos del metabolismo y de la

nutrición Muy frecuentes: Pérdida de peso Frecuentes: Anorexia, disminución del apetito

### Trastornos psiquiátricos

Frecuentes: Insomnio, disminución de la libido

### Trastornos del sistema

nervioso Muy frecuentes:

Temblores,

Frecuentes: Neuropatía periférica, cefalea, parestesia, mareo, ataxia, hipostesia

### Trastornos gastrointestinales

Muy frecuentes: Diarrea, flatulencia, dolor abdominal

Frecuentes: Náuseas, vómitos, distensión/molestia abdominal, estreñimiento, dispepsia

### Trastornos músculo esqueléticos y del tejido conjuntivo

Frecuentes: Espasmos musculares

### Trastornos generales y alteraciones en el lugar de administración

Frecuentes: Fatiga, astenia

### Exploraciones complementarias

Frecuentes: Estudios de conducción nerviosa anormales

Se ha observado una pérdida de peso en aproximadamente el 60% de los pacientes. El nivel más bajo se registró a los 12 meses con un promedio de pérdida del 6-7% del peso corporal seguida de una tendencia a recuperar el peso basal.

Se ha estudiado GLITIR en Indicaciones donde ciertos eventos notificados como reacciones adversas medicamentosas, tales como síntomas/signos neurológicos y trombocitopenia, podrían ser también debidos a la condición subyacente.

Se han notificado casos aislados de disfunción cognitiva durante los ensayos clínicos con GLITIR en la enfermedad de Gaucher tipo 1. No se ha establecido una relación causal con GLITIR.

## **Datos preclínicos sobre seguridad**

La pérdida de peso y la diarrea, así como, a dosis superiores, lesiones (erosiones y ulceraciones) en la mucosa gastrointestinal han sido los principales efectos comunes a todas las especies. Además, los efectos observados en animales con dosis que dan lugar a niveles de exposición similares o moderadamente superiores al nivel clínico han incluido: alteraciones en los órganos Linfoides en todas las especies estudiadas, alteraciones en los niveles de transaminasas, vacuolización en tiroides y páncreas, cataratas, nefropatía y alteraciones del miocardio en ratas. Se consideró que estas alteraciones están asociadas al debilitamiento.

GLITIR no mostró ningún potencial para inducir efectos mutagénicos o clastogénicos en una batería estándar de ensayos de genotoxicidad.

Los estudios de toxicidad con dosis múltiples en ratas han demostrado efectos sobre el epitelio seminífero del testículo. Otros estudios han revelado alteraciones en los parámetros espermáticos (motilidad y morfología) congruentes con una disminución observada en la fertilidad. Estos efectos sobre la fertilidad se produjeron con niveles de exposición similares a los observados en pacientes; si bien fueron reversibles, ha afectado la supervivencia embrionaria fetal en la rata y el conejo; se ha observado distocia; aumento de las pérdidas post-implantación, así como una mayor incidencia de anomalías vasculares en el conejo. Estos efectos pueden estar parcialmente relacionados con la toxicidad materna.

En un estudio de 1 año de duración en ratas hembras se observaron alteraciones en la lactancia. Se desconoce el mecanismo responsable de este efecto.

## **EMBARAZO Y LACTANCIA**

No existen datos suficientes sobre la utilización de Miglustat en mujeres embarazadas. Los estudios en animales han mostrado toxicidad reproductiva, incluida la distocia.

Se desconoce el riesgo potencial en seres humanos. Miglustat atraviesa la placenta por lo que no debe emplearse durante el embarazo. Las mujeres en edad fértil deberán emplear métodos anticonceptivos.

No se sabe si el Miglustat se excreta en la leche materna. No se recomienda el uso de GLITIR durante la lactancia.

Los pacientes varones deberán emplear métodos anticonceptivos fiables mientras estén tomando GLITIR y durante los tres meses siguientes a la finalización del tratamiento.

## **Efectos sobre la capacidad para conducir y utilizar máquinas**

No se han realizado estudios de los efectos de GLITIR sobre la capacidad para conducir y utilizar máquinas. No obstante, se han notificado mareos como reacción adversa frecuente, por lo que los pacientes que experimenten mareos no deberán conducir ni utilizar máquinas.

## **SOBREDOSIS**

No se han notificado síntomas agudos de sobredosis. En ensayos clínicos en pacientes VIH positivos GLITIR se ha administrado a dosis de hasta 3000 mg/día durante periodos de hasta seis meses. Entre los efectos adversos observados se encuentran granulocitopenia, mareos y parestesia. También se ha observado Leucopenia y neutropenia en un grupo similar de pacientes que recibían dosis iguales o superiores a 800 mg/día.

## **En caso de presentarse sobredosis consulte a su médico.**

Ante la eventualidad de una sobredosificación dirigirse al Hospital más cercano o comunicarse con los centros de toxicología:

Hospital de Pediatría Ricardo Gutiérrez. Tel: (011) 4962-6666/2247 Hospital A. Posadas. (011) 4654-6648 ó 4658-7777

## **INCOMPATIBILIDADES**

No procede.

**Periodo de vida útil:** 3 años

**Precauciones especiales de conservación**

Conservar a temperatura por debajo de 30°C.

**INSTRUCCIONES DE USO/MANIPULACIÓN**

Todos los medicamentos deben conservarse adecuadamente y mantenerse fuera del alcance de los niños.

**PRESENTACION**

Las cápsulas GLITIR están envasadas en tiras blíster de ACLAR/ALU y se comercializan en una caja con un total de 90 cápsulas repartidas en 9 tiras del blíster, con 10 cápsulas en cada una.

Especialidad Medicinal autorizada por el Ministerio de Salud.

Certificado N°: .....

**"Este medicamento ha sido prescripto sólo para su problema médico actual. No se lo recomiende a otras personas."**

**MEDICAMENTO: MANTENGASE FUERA DEL ALCANCE DE LOS NIÑOS.**

Fecha de última revisión: .../...../.....

Elaborador en: VIRGILIO N° 844/856, CABA  
Laboratorios ASPEN S.A. Remedios 3439/43, CABA

**Ante cualquier inconveniente con el producto el paciente puede llenar la ficha que está en la Página Web de la ANMAT: <http://www.anmat.gov.ar/farmacovigilancialNotificar.asp> o llamar a ANMAT responde 0800-333-1234**



DURANTE Lorena Natalia  
CUIL 27225819705



JUAREZ Miriam Patricia  
CUIL 27144337595



LIMERES Manuel Rodolfo  
CUIL 20047031932

**Proyecto de Rótulo Primario**

**GLITIR  
Miglustat 100 mg  
Capsulas Duras**

**GLITIR  
MIGLUSTAT 100 MG**

**Lote: xxxxxx**

**Fecha de vencimiento: xxxxx**

Laboratorios ASPEN S.A. Remedios 3439/43, CABA



DURANTE Lorena Natalia  
CUIL 27225819705



JUAREZ Miriam Patricia  
CUIL 27144337595



LIMERES Manuel Rodolfo  
CUIL 20047031932



**Proyecto de Rótulo Secundario**

**GLITIR**

**Miglustat 100 mg - Cápsulas Duras**

CÁPSULAS DURAS

90 cápsulas

Vía Oral

VENTA BAJO RECETA

INDUSTRIA ARGENTINA

**FÓRMULA CUALITATIVA y CUANTITATIVA**

Cada cápsula dura contiene: Miglustat 100 mg

**EXCIPIENTES:**

**Contenido de la cápsula**

Estearato de magnesio: 0.831 mg

Glicolato sódico de almidón: 5.540 mg

Povidona K30: 4.432 mg

**Cubierta de la cápsula**

Gelatina: 49,24 mg

Dióxido de titanio: 0,76 mg

LOTE:

VENCIMIENTO:

**POSOLOGÍA / MODO DE ADMINISTRACIÓN**

El tratamiento debe ser dirigido por un médico con conocimientos sobre el tratamiento de la enfermedad de Gaucher o de la enfermedad de Niemann-Pick C, respectivamente.

MIGLUSTAT ASPEN puede tomarse con o sin comida.

**Precauciones especiales de conservación**

Conservar a temperatura por debajo de 30° C.

Especialidad Medicinal autorizada por el Ministerio de Salud.

Certificado N°: .....

Elaborador en: VIRGILIO N° 844/856, CABA

Laboratorios ASPEN S.A. Remedios 3439/43, CABA

**"Este medicamento ha sido prescripto sólo para su problema médico actual. No se lo recomienda a otras personas."**

**MEDICAMENTO: MANTENGASE FUERA DEL ALCANCE DE LOS NIÑOS.**

LIMERES Manuel Rodolfo  
CUIL 20047031932



DURANTE Lorena Natalia  
CUIL 27225819705



JUAREZ Miriam Patricia  
CUIL 27144337595



8 de enero de 2021

**DISPOSICIÓN N° 172**

**CERTIFICADO DE INSCRIPCIÓN EN EL REGISTRO  
DE ESPECIALIDADES MEDICINALES (REM)**

**CERTIFICADO N° 59368**

**TROQUELES**

**EXPEDIENTE N° 1-0047-2000-000027-18-6**

Datos Identificatorios Característicos de la Forma Farmacéutica

Troquel

MIGLUSTAT 100 mg - CAPSULA DURA

664371



SIERRAS Roberto Daniel  
CUIL 20182858685

Buenos Aires, 08 DE ENERO DE 2021.-

## DISPOSICIÓN N° 172

### ANEXO

# CERTIFICADO DE INSCRIPCIÓN EN EL REGISTRO DE ESPECIALIDADES MEDICINALES (REM) CERTIFICADO N° 59368

El Administrador Nacional de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (ANMAT) certifica que se autorizó la inscripción en el Registro de Especialidades Medicinales (REM), de un nuevo producto con los siguientes datos identificatorios característicos:

#### 1. DATOS DE LA EMPRESA TITULAR DEL CERTIFICADO

Razón Social: LABORATORIOS ASPEN SA

N° de Legajo de la empresa: 6903

#### 2. DATOS DE LA ESPECIALIDAD MEDICINAL

Nombre comercial: GLITIR

Nombre Genérico (IFA/s): MIGLUSTAT

Concentración: 100 mg

Forma farmacéutica: CAPSULA DURA

Fórmula Cualitativa y Cuantitativa por unidad de forma farmacéutica o

Tel. (+54-11) 4340-0800 - <http://www.anmat.gov.ar> - República Argentina

**Productos Médicos**  
Av. Belgrano 1480  
(C1093AAP), CABA

**INAME**  
Av. Caseros 2161  
(C1264AAD), CABA

**INAL**  
Estados Unidos 25  
(C1101AAA), CABA

**Sede Alsina**  
Alsina 665/671  
(C1087AAI), CABA

**Sede Central**  
Av. de Mayo 869  
(C1084AAD), CABA

porcentual

<b>Ingrediente (s) Farmacéutico (s) Activo (s) (IFA)</b>
--

MIGLUSTAT 100 mg
------------------

<b>Excipiente (s)</b>
-----------------------

GELATINA 49,24 mg CÁPSULA DIOXIDO DE TITANIO 0,76 mg CÁPSULA ESTEARATO DE MAGNESIO 0,831 mg POLVO GLICOLATO SODICO DE ALMIDON 5,54 mg POLVO POVIDONA K 30 4,432 mg POLVO
--

Origen y fuente del/de los Ingrediente/s Farmacéutico/s Activo/s: SINTÉTICO O SEMISINTÉTICO

Envase Primario: BLISTER ALU/PCTFE (ACLAR)

Contenido por envase primario: BLISTER CONTENIENDO 10 CAPSULAS

Accesorios: No corresponde

Contenido por envase secundario: CAJA CONTENIENDO 9 BLISTER CONTENIENDO 10 CAPSULAS CADA UNA.

Presentaciones: 90

Período de vida útil: 36 MESES

Forma de conservación: Desde 15° C hasta 30° C

Otras condiciones de conservación: MANTENER ESTE MEDICAMENTO FUERA DE LA VISTA Y DEL ALCANCE DE LOS NIÑOS. NO UTILICE ESTE MEDICAMENTO DESPUÉS DE LA FECHA DE CADUCIDAD QUE APARECE EN EL ENVASE DESPUÉS DE "VEN". LA FECHA DE CADUCIDAD ES EL ÚLTIMO DÍA DEL MES QUE SE INDICA. CONSERVAR A TEMPERATURA NO MAYOR A 30°C.

FORMA RECONSTITUIDA

Tiempo de conservación: No corresponde

Forma de conservación, desde: No corresponde Hasta: No corresponde

Otras condiciones de conservación: No corresponde

Condición de expendio: BAJO RECETA

Código ATC: A16AX06

Acción terapéutica: La acción inhibitoria del Miglustat es sobre la glucosilceramida sintetasa constituye la base para la terapia de reducción de sustrato en la enfermedad de Gaucher.

En general, los datos muestran que el tratamiento con MIGLUSTAT ASPEN puede reducir la progresión de los síntomas clínicos neurológicos relevantes en pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C.

Vía/s de administración: ORAL

Indicaciones: MIGLUSTAT ASPEN está indicado en el tratamiento oral de pacientes adultos con la enfermedad de Gaucher tipo 1 leve o moderada. MIGLUSTAT ASPEN se utilizará únicamente en aquellos casos en los que no sea adecuado el tratamiento enzimático sustitutivo. MIGLUSTAT ASPEN está indicado para el tratamiento de las manifestaciones neurológicas progresivas en pacientes adultos y pacientes pediátricos con enfermedad de Niemann-Pick C.

### 3. DATOS DEL ELABORADOR/ES AUTORIZADO/S

#### Etapas de elaboración de la Especialidad Medicinal:

##### a)Elaboración hasta el granel y/o semielaborado:

Razón Social	Número de Disposición autorizante y/o BPF	Domicilio de la planta	Localidad	País
DONATO ZURLO & CIA S.R.L	6919/12	VIRGILIO N° 844/856	CIUDAD AUTÓNOMA DE BS. AS.	REPÚBLICA ARGENTINA

##### b)Acondicionamiento primario:

Razón Social	Número de Disposición autorizante y/o BPF	Domicilio de la planta	Localidad	País

Tel. (+54-11) 4340-0800 - <http://www.anmat.gov.ar> - República Argentina

**Productos Médicos**  
Av. Belgrano 1480  
(C1093AAP), CABA

**INAME**  
Av. Caseros 2161  
(C1264AAD), CABA

**INAL**  
Estados Unidos 25  
(C1101AAA), CABA

**Sede Alsina**  
Alsina 665/671  
(C1087AAI), CABA

**Sede Central**  
Av. de Mayo 869  
(C1084AAD), CABA

DONATO ZURLO & CIA S.R.L	6919/12	VIRGILIO N° 844/856	CIUDAD AUTÓNOMA DE BS. AS.	REPÚBLICA ARGENTINA
-----------------------------	---------	---------------------	----------------------------------	------------------------

**c)Acondicionamiento secundario:**

Razón Social	Número de Disposición autorizante y/o BPF	Domicilio de la planta	Localidad	País
DONATO ZURLO & CIA S.R.L	6919/12	VIRGILIO N° 844/856	CIUDAD AUTÓNOMA DE BS. AS.	REPÚBLICA ARGENTINA
LABORATORIOS ASPEN S.A	DI-2019-4751-APN-ANMAT	REMEDIOS 3439/43	CIUDAD AUTÓNOMA DE BS. AS.	REPÚBLICA ARGENTINA

El presente Certificado tendrá una validez de 5 años a partir de la fecha del mismo.

Expediente N°: 1-0047-2000-000027-18-6



LIMERES Manuel Rodolfo  
CUIL 20047031932