



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/225836/2023
EMA/H/C/005695

Opfolda (*miglustat*)

Přehled pro přípravek Opfolda a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Opfolda a k čemu se používá?

Opfolda je léčivý přípravek používaný k léčbě dospělých s pozdní formou Pompeho nemoci (deficitem kyselé alfa-glukosidázy [GAA]), což je dědičné onemocnění, při kterém mají pacienti potíže s dýcháním a svalovou slabost. Používá se v kombinaci s dalším léčivem zvaným cipaglukosidáza alfa.

Přípravek Opfolda je „hybridní léčivý přípravek“. Znamená to, že přípravek je podobný „referenčnímu léčivému přípravku“, obsahuje stejnou léčivou látku, avšak je k dispozici ve formě tobolek jiné síly. Referenčním léčivým přípravkem pro přípravek Opfolda je přípravek Zavesca.

Přípravek Opfolda obsahuje léčivou látku miglustat.

Jak se přípravek Opfolda používá?

Tobolky přípravku Opfolda se užívají ústy přibližně 1 hodinu, nikoli však více než 3 hodiny, před zahájením infuze cipaglukosidázy alfa.

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla být probíhat pod dohledem lékaře se zkušenostmi s léčbou pacientů s Pompeho nemocí nebo podobnými onemocněními.

Více informací o používání přípravku Opfolda naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Opfolda působí?

Léčivá látka v přípravku Opfolda, miglustat, se během léčby váže na cipaglukosidázu alfa. Díky tomu je cipaglukosidáza alfa stabilnější, a proto ji mohou z krve nadále vstřebávat svalové buňky postižené Pompeho nemocí.

Jaké přínosy přípravku Opfolda byly prokázány v průběhu studií?

Jedna hlavní studie, do které bylo zařazeno 125 dospělých s Pompeho nemocí, srovnávala účinky přípravku Opfolda v kombinaci s cipaglukosidázou alfa s alglukosidázou alfa (jiným léčivem k léčbě Pompeho nemoci) a placebem (neúčinným přípravkem).

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Ze studie vyplynulo, že po jednom roce léčby se vzdálenost, kterou byli pacienti schopni ujít za 6 minut, u pacientů léčených přípravkem Opfolda v kombinaci s cipaglukosidázou alfa prodloužila o přibližně 20 metrů ve srovnání s přibližně 8 metry u pacientů užívajících alglukosidázu alfa a placebo. Tento rozdíl byl považován za klinicky významný.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Opfolda?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Opfolda je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Opfolda (který může postihnout až 1 osobu z 10) je zácpa.

Přípravek Opfolda nesmějí užívat lidé, kteří nemohou užívat cipaglukosidázu alfa.

Na základě čeho byl přípravek Opfolda registrován v EU?

Evropská agentura pro léčivé přípravky dospěla k závěru, že účinky přípravku Opfolda v kombinaci s cipaglukosidázou alfa jsou klinicky významné a že jejich použití nabízí alternativní možnost léčby pro dospělé pacienty s pozdní formou Pompeho nemoci. Bezpečnostní profil této kombinace je považován za přijatelný a srovnatelný s bezpečnostním profilem alglukosidázy alfa.

Agentura proto rozhodla, že přínosy přípravku Opfolda převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Opfolda?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Opfolda, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Opfolda průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Opfolda jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Opfolda

Další informace o přípravku Opfolda jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.