



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustat*)

En oversigt over Opfolda, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Opfolda, og hvad anvendes det til?

Opfolda er et lægemiddel, der anvendes til behandling af voksne med sent debuterende Pompes sygdom (syre- α -glucosidase [GAA]-mangel) en arvelig sygdom, hvor patienterne har åndedrætsbesvær og muskelsvaghed. Det anvendes i kombination med et andet lægemiddel, cipagluco­sidase alfa.

Opfolda er et "hybridlægemiddel". Det betyder, at det svarer til et "referencelægemiddel", der indeholder det samme aktive stof, men det fås som kapsler i en anden styrke. Referencelægemidlet for Opfolda er Zavesca.

Opfolda indeholder det aktive stof miglustat.

Hvordan anvendes Opfolda?

Opfolda-kapslerne indtages gennem munden ca. 1 time, og højst 3 timer, før der gives en infusion (drop) med cipagluco­sidase alfa.

Lægemidlet fås kun på recept, og behandlingen bør overvåges af en læge med erfaring inden for behandling af patienter med Pompes sygdom eller lignende sygdomme.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Opfolda, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Opfolda?

Det aktive stof i Opfolda, miglustat, binder sig til cipagluco­sidase alfa under behandlingen. Dette gør cipagluco­sidase alfa mere stabilt, så det fortsat kan absorberes fra blodet af de muskelceller, der er ramt af Pompes sygdom.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Opfolda?

I et hovedstudie, der omfattede 125 voksne med Pompes sygdom, blev virkningerne af Opfolda plus cipagluco­sidase alfa sammenlignet med alglucosidase alfa (et andet lægemiddel mod Pompes sygdom) plus placebo (en uvirksom behandling).

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



Studiet viste, at den afstand, som patienterne kunne gå på seks minutter efter et års behandling, blev forbedret med ca. 20 m hos de patienter, der blev behandlet med Opfolda plus cipagluco­sidase alfa, sammenlignet med en forbedring på ca. 8 m hos patienterne på algluco­sidase alfa og placebo. Denne forskel blev anset for klinisk relevant.

Hvilke risici er der forbundet med Opfolda?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Opfolda fremgår af indlægssedlen.

Den mest almindelige bivirkning ved Opfolda (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er forstoppelse.

Opfolda må ikke anvendes af personer, der ikke kan tage cipagluco­sidase alfa.

Hvorfor er Opfolda godkendt i EU?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at virkningerne af Opfolda i kombination med cipagluco­sidase alfa er klinisk relevante, og at det er en alternativ behandlingsmulighed for voksne patienter med sent debuterende Pompes sygdom. Kombinationens sikkerhedsprofil anses for at være acceptabel og sammenlignelig med sikkerhedsprofilen for algluco­sidase alfa.

Agenturet konkluderede derfor, at fordelene ved Opfolda opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Opfolda anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Opfolda anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Opfolda løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Opfolda vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Opfolda

Yderligere information om Opfolda findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.