



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*Miglustat*)

Übersicht über Opfolda und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Opfolda und wofür wird es angewendet?

Opfolda ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit Morbus Pompe (Mangel an saurer α -Glucosidase [GAA]) der späten Verlaufsform, einer erblichen Erkrankung, bei der die Patienten Atembeschwerden haben und Muskelschwäche aufweisen. Es wird in Kombination mit einem anderen Arzneimittel, Cipaglucosidase alfa, angewendet.

Opfolda ist ein „Hybridarzneimittel“. Dies bedeutet, dass es einem „Referenzarzneimittel“ ähnlich ist, das denselben Wirkstoff enthält, aber als Kapseln einer anderen Stärke erhältlich ist. Das Referenzarzneimittel für Opfolda ist Zavesca.

Opfolda enthält den Wirkstoff Miglustat.

Wie wird Opfolda angewendet?

Opfolda Kapseln werden etwa 1 Stunde, jedoch nicht mehr als 3 Stunden vor einer Cipaglucosidase-Alfa-Infusion (Tropfinfusion) eingenommen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von Patienten mit Morbus Pompe oder ähnlichen Erkrankungen erfahrenen Arzt überwacht werden.

Weitere Informationen zur Anwendung von Opfolda entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Opfolda?

Der Wirkstoff in Opfolda, Miglustat, bindet während der Behandlung an Cipaglucosidase alfa. Dadurch wird Cipaglucosidase alfa stabiler, sodass es weiterhin von den Muskelzellen, die von Morbus Pompe betroffen sind, aus dem Blut resorbiert werden kann.

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.

Welchen Nutzen hat Opfolda in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie, an der 125 Erwachsene mit Morbus Pompe teilnahmen, wurden die Wirkungen von Opfolda plus Cipaglucosidase alfa mit Alglucosidase alfa (einem anderen Arzneimittel gegen Morbus Pompe) plus Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen.

Die Studie zeigte, dass sich die Strecke, die Patienten in sechs Minuten gehen konnten, nach einjähriger Behandlung bei Patienten, die mit Opfolda plus Cipaglucosidase alfa behandelt wurden, um etwa 20 Meter verbesserte, verglichen mit einer Verbesserung um etwa 8 Meter bei Patienten, die Alglucosidase alfa und Placebo erhielten. Dieser Unterschied wurde als klinisch relevant angesehen.

Welche Risiken sind mit Opfolda verbunden?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Opfolda berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Eine sehr häufige Nebenwirkung von Opfolda (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen kann) ist Verstopfung.

Opfolda darf nicht bei Personen angewendet werden, die Cipaglucosidase alfa nicht einnehmen können.

Warum wurde Opfolda in der EU zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass die Wirkungen von Opfolda in Kombination mit Cipaglucosidase alfa klinisch relevant sind und dass seine Anwendung eine alternative Behandlungsoption für erwachsene Patienten mit Morbus Pompe der späten Verlaufsform bietet. Das Sicherheitsprofil der Kombination wird als akzeptabel und mit dem von Alglucosidase alfa vergleichbar angesehen.

Die Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Opfolda gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Opfolda ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Opfolda, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Opfolda kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Opfolda werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Opfolda

Weitere Informationen zu Opfolda finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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