



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Orfolda (μιγλουστάτη)

Ανασκόπηση του Orfolda και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Orfolda και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Orfolda είναι ένα φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με νόσο του Pompe όψιμης έναρξης (ανεπάρκεια της όξινης α-γλυκοσιδάσης [GAA]), μια κληρονομική διαταραχή κατά την οποία οι ασθενείς αντιμετωπίζουν αναπνευστικές δυσκολίες και μυϊκή αδυναμία. Χρησιμοποιείται σε συνδυασμό με ένα άλλο φάρμακο, τη σιπαγλυκοσιδάση άλφα.

Το Orfolda είναι «υβριδικό φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι είναι παρόμοιο με το «φάρμακο αναφοράς», το οποίο περιέχει την ίδια δραστική ουσία, αλλά διατίθεται σε μορφή καψακίων διαφορετικής περιεκτικότητας. Το φάρμακο αναφοράς για το Orfolda είναι το Zavesca.

Το Orfolda περιέχει τη δραστική ουσία μιγλουστάτη.

Πώς χρησιμοποιείται το Orfolda;

Τα καψάκια Orfolda λαμβάνονται από το στόμα περίπου 1 ώρα αλλά όχι περισσότερο από 3 ώρες πριν από την έγχυση σιπαγλυκοσιδάσης άλφα (ενστάλαξη).

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και ο ασθενής πρέπει να λαμβάνει τη θεραπεία υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη διαχείριση ασθενών με νόσο του Pompe ή παρόμοιες νόσους.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Orfolda, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Orfolda;

Η δραστική ουσία του Orfolda, η μιγλουστάτη, προσκολλάται στη σιπαγλυκοσιδάση άλφα κατά τη διάρκεια της θεραπείας. Κατ' αυτόν τον τρόπο προσδίδεται μεγαλύτερη σταθερότητα στη σιπαγλυκοσιδάση άλφα, ώστε να την απορροφούν ευκολότερα από το αίμα τα μυϊκά κύτταρα που επηρεάζονται από τη νόσο του Pompe.

Ποια είναι τα οφέλη του Orfolda σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μία βασική μελέτη στην οποία μετείχαν 125 ενήλικες με τη νόσο του Pompe, τα αποτελέσματα του Orfolda σε συνδυασμό με τη σιπαγλυκοσιδάση άλφα συγκρίθηκαν με τα αποτελέσματα της

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



αλγλυκοσιδάσης άλφα (ένα άλλο φάρμακο για τη νόσο του Pompe) σε συνδυασμό με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία).

Η μελέτη κατέδειξε ότι, μετά από ένα έτος θεραπείας, η απόσταση που μπόρεσαν να διανύσουν οι ασθενείς σε έξι λεπτά βελτιώθηκε κατά περίπου 20 μέτρα στους ασθενείς που έλαβαν Orfolda σε συνδυασμό με σιπαγλυκοσιδάση άλφα, σε σύγκριση με βελτίωση περίπου 8 μέτρων στους ασθενείς που έλαβαν αλγλυκοσιδάση άλφα και εικονικό φάρμακο. Η διαφορά αυτή θεωρήθηκε κλινικά σημαντική.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Orfolda;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Orfolda περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Η πιο συχνή ανεπιθύμητη ενέργεια με το Orfolda (ενδέχεται να παρατηρηθεί σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) είναι η δυσκοιλιότητα.

Το Orfolda δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που δεν μπορούν να λάβουν σιπαγλυκοσιδάση άλφα.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Orfolda στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Orfolda σε συνδυασμό με σιπαγλυκοσιδάση άλφα είναι κλινικά σημαντικά και ότι η χρήση τους αποτελεί εναλλακτική θεραπευτική επιλογή για ενήλικες ασθενείς με νόσο του Pompe όψιμης έναρξης. Η εικόνα ασφάλειας του συνδυασμού θεωρείται αποδεκτή και συγκρίσιμη με την αντίστοιχη της αλγλυκοσιδάσης άλφα.

Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός αποφάσισε ότι τα οφέλη του Orfolda υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Orfolda;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Orfolda.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Orfolda τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Orfolda θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Orfolda

Περισσότερες πληροφορίες για το Orfolda διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.