



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustaatti*)

Yleistiedot Opfolda-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Opfolda on ja mihin sitä käytetään?

Opfolda on lääke, jota käytetään myöhään alkaneen Pompen taudin (happaman alfa-glukosidaasin [GAA] puutos) hoitoon aikuisilla. Kyseessä on perinnöllinen sairaus, jossa potilailla on hengitysvaikeuksia ja lihasheikkoutta. Valmistetta käytetään yhdessä toisen lääkkeen, sipaglukosidaasi alfan, kanssa.

Opfolda on hybridilääke. Tämä tarkoittaa sitä, että se on samankaltainen kuin samaa vaikuttavaa ainetta sisältävä viitevalmiste, mutta sitä on saatavana eri vahvuisina kapseleina. Opfoldan viitevalmiste on Zavesca.

Opfoldan vaikuttava aine on miglustaatti.

Miten Opfoldaa käytetään?

Opfolda-kapselit otetaan suun kautta noin tuntia mutta enintään kolme tuntia ennen sipaglukosidaasi alfa -infuusiota (tiputus).

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoito annetaan Pompen taudin tai samankaltaisten sairauksien hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Lisätietoja Opfoldan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Opfolda vaikuttaa?

Opfoldan vaikuttava aine, miglustaatti, kiinnittyy sipaglukosidaasi alfaan hoidon aikana. Tämä lisää sipaglukosidaasi alfan stabiiliutta, jolloin se voi imeytyä verestä niiden lihassolujen kautta, joiden toimintaan Pompen tauti vaikuttaa.

Mitä hyötyä Opfoldasta on havaittu tutkimuksissa?

Yhdessä päättökokeessa, johon osallistui 125 Pompen tautia sairastavaa aikuista, Opfoldan ja sipaglukosidaasi alfan tehoa verrattiin alfa-glukosidaasi alfaan (toinen lääke Pompen taudin hoitoon) lumelääkkeeseen yhdistettynä.



Tutkimus osoitti, että vuoden kestäneen hoidon jälkeen matka, jonka potilaat pystyivät kävelemään kuuden minuutin aikana, pidentyi noin 20 metriä potilailla, joita hoidettiin Opfoldan ja sipaglukosidaasi alfan yhdistelmällä. Alglukosidaasi alfaa ja lumelääkettä saaneiden potilaiden kävelemä matka parani noin 8 metriä. Tätä eroa pidettiin kliinisesti merkittävänä.

Mitä riskejä Opfoldaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Opfoldan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Opfoldan yleisin haittavaikutus (jota saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) on ummetus.

Henkilöt, jotka eivät voi käyttää sipaglukosidaasi alfaa, eivät saa käyttää Opfoldaa.

Miksi Opfolda on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Opfoldan vaikutukset, kun sitä käytetään yhdessä sipaglukosidaasi alfan kanssa, ovat kliinisesti merkittäviä, ja että yhdistelmän käyttö tarjoaa hoitovaihtoehdon aikuisille, joilla on myöhään alkanut Pompen tauti. Yhdistelmän turvallisuusprofiilin katsotaan olevan hyväksyttävä ja verrattavissa alglukosidaasi alfan turvallisuusprofiiliin.

Näin ollen virasto katsoi, että Opfoldan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Opfoldan turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Opfoldan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Muiden lääkkeiden tavoin myös Opfoldan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Opfoldasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Opfoldasta

Lisää tietoa Opfoldasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.