

LIITE I
VALMISTEYHTEENVETO

1. LÄÄKEVALMISTEEN NIMI

Opfolda 65 mg kovat kapselit

2. VAIKUTTAVAT AINEET JA NIIDEN MÄÄRÄT

Yksi kova kapseli sisältää 65 mg miglustaattia.

Täydellinen apuaineluettelo, ks. kohta 6.1.

3. LÄÄKEMUOTO

Kapseli, kova

Koon 2 kova kapseli (6,35 x 18,0 mm), jossa on harmaa läpinäkymätön kansiosa ja valkoinen läpinäkymätön runko-osa. Kapselin runkoon on painettu mustalla värillä teksti ”AT2221”. Kapseli sisältää valkoista tai luonnonvalkoista jauhetta.

4. KLIINISET TIEDOT

4.1 Käyttöaiheet

Opfolda (miglustaatti) on sipaglukosidaasi alfan pitkäaikaisen entsyymikorvaushoidon entsyymitoimintaa vakauttava aine aikuisilla, joilla on myöhään alkanut Pompen tauti (happaman α -glukosidaasin [GAA] puutos).

4.2 Annostus ja antotapa

Hoitoa saa valvoa lääkäri, jolla on kokemusta Pompen tautia tai muita perinnöllisiä aineenvaihdunta- tai neuromuskulaarisairauksia sairastavien potilaiden hoidosta.

Miglustaatti 65 mg kovat kapselit on käytettävä yhdessä sipaglukosidaasi alfan kanssa. Sipaglukosidaasi alfan valmisteyhteenvedoon on tutustuttava ennen miglustaatin käyttöä.

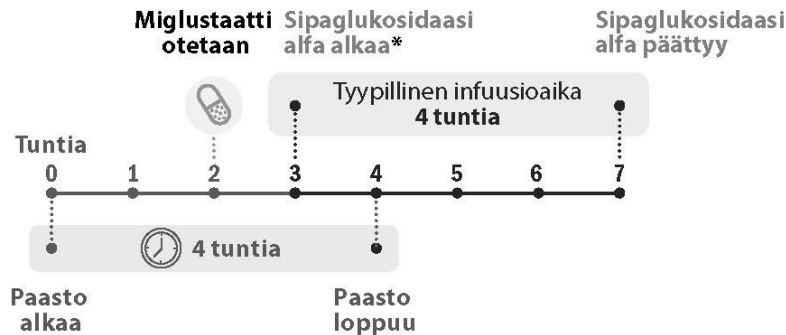
Annostus

Vähintään 18-vuotiaat aikuiset ottavat suun kautta joka toinen viikko suositellun annoksen, joka perustuu painoon:

- ≥ 50 kg painaville potilaille suositeltu annos on 260 mg (neljä (4) 65 mg:n kapselia).
- ≥ 40 kg – < 50 kg painaville potilaille suositeltu annos on 195 mg (kolme (3) 65 mg:n kapselia).

Miglustaatti 65 mg kovat kapselit otetaan noin 1 tunti mutta enintään 3 tuntia ennen sipaglukosidaasi alfa -infuusion aloittamista.

Kuva 1. Annoksen aikajana



* Miglustaatti 65 mg kovat kapselit on otettava noin 1 tunti mutta enintään 3 tuntia ennen sipaglukosidaasi alfa -infuusion aloittamista.

Potilaan hoitovaste on arvioitava rutiininomaisesti kaikkien taudin kliinisten ilmentymien kattavan arvioinnin perusteella. Riittämättömän vasteen tai kohtuuttomien turvallisuusriskien tapauksessa on harkittava miglustaatti 65 mg kovien kapseleiden käytön keskeyttämistä yhdessä sipaglukosidaasi alfa -hoidon kanssa. Joko molempien lääkevalmisteiden käyttöä on jatkettava tai molempien lääkevalmisteiden käyttö on lopetettava.

Väliin jäänyt annos

Jos miglustaattiannos jää väliin, hoito on otettava mahdollisimman pian. Jos sitä ei oteta, älä aloita sipaglukosidaasi alfa -infuusiota. Sipaglukosidaasi alfa -infuusio voidaan aloittaa 1 tunnin kuluttua miglustaatin ottamisesta.

Erityisryhmät

Munuaisten ja maksan vajaatoiminta

Miglustaatin turvallisuutta ja tehoa yhdessä sipaglukosidaasi alfa -hoidon kanssa ei ole arvioitu keskivaiketta tai vaikeaa munuaisten ja/tai maksan vajaatoimintaa sairastavilla potilailla. Kun hoito otetaan joka toinen viikko, plasman miglustaattialtistuksen suureneminen kohtalaisen tai vaikean munuaisten tai maksan vajaatoiminnan seurauksena ei todennäköisesti vaikuta merkittävästi sipaglukosidaasi alfa -altistukseen eikä sen odoteta vaikuttavan sipaglukosidaasi alfan tehoon ja turvallisuuteen kliinisesti merkittäväällä tavalla. Annoksen muuttamista ei tarvita munuaisten tai maksan vajaatoimintaa sairastavilla potilailla.

Iäkkäät potilaat

Miglustaatin käytöstä yhdessä sipaglukosidaasi alfa -hoidon kanssa yli 65-vuotiaille potilaille on vain vähän kokemusta. Annoksen muuttaminen ei ole tarpeen iäkkäille potilaille.

Pediatriset potilaat

Miglustaatin turvallisuutta ja tehoa yhdessä sipaglukosidaasi alfa -hoidon kanssa alle 18 vuoden ikäisten lasten hoidossa ei ole vielä varmistettu. Tietoja ei ole saatavilla.

Antotapa

Miglustaatti otetaan suun kautta.

Miglustaatti kovassa kapselissa on sauma, joka estää kapselin kuoren avaamisen. Kapseli on nieltävä kokonaisena ja otettava tyhjään vatsaan.

Potilaan on paastottava 2 tuntia ennen 65 mg:n miglustaattiannosta (kovat kapselit) ja 2 tuntia sen jälkeen (ks. Kohta 5.2). Tämän 4 tunnin paaston aikana voidaan nauttia vettä, rasvatonta lehmänmaitoa sekä teetä tai kahvia ilman kermaa, sokeria tai makeutusaineita. Potilas voi jatkaa normaalia syömistä ja juomista 2 tuntia miglustaatin ottamisen jälkeen.

4.3 Vasta-aiheet

Yliherkkyys vaikuttavalle aineelle tai kohdassa 6.1 mainituille apuaineille.
Sipaglukosidaasi alfan vasta-aihe.

4.4 Varoitukset ja käyttöön liittyvät varotoimet

Miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfan yhdistelmähoidon yhteydessä voi esiintyä haittavaikutuksia (ks. kohta 4.8).

4.5 Yhteisvaikutukset muiden lääkevalmisteiden kanssa sekä muut yhteisvaikutukset

Miglustaatin käyttöön liittyviä yhteisvaikutustutkimuksia ei ole tehty.

Yhteisvaikutus ruoan kanssa

Miglustaatilla tiedetään olevan suora vaikutus suoliston epiteelin merkittävien disakkaridaasien entsyymaattiseen toimintaan. Tarkemmin sanottuna miglustaatti estää alfa-glykosidisia sidoksia sisältäviä disakkarideja, kuten sakkaraasia, maltaasia ja isomaltaasia. Mahdollisten yhteisvaikutusten voimakkuus voi välittömästi häiritä sakkaroosin, maltoosin ja isomaltoosin ruoansulatukseen liittyvää aktiivisuutta, mikä johtaa ruoansulatushäiriöön, veden osmoottiseen sisäänvirtaukseen, lisääntyneeseen käymiseen ja ärsyttävien metaboliittien tuotantoon. Potilaan on paastottava 2 tuntia ennen miglustaatin ottamista ja 2 tuntia sen ottamisen jälkeen.

4.6 Hedelmällisyys, raskaus ja imetys

Ehkäisy naisilla

Naisten, jotka voivat tulla raskaaksi, on käytettävä luotettavia ehkäisymenetelmiä miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfan yhdistelmähoidon aikana, sekä 4 viikon ajan hoidon lopettamisen jälkeen (ks. kohta 5.3). Lääkevalmistetta ei suositella naisille, jotka voivat tulla raskaaksi ja jotka eivät käytä luotettavaa ehkäisyä.

Raskaus

Ei ole olemassa kliinisiä tietoja miglustaatin käytöstä yhdessä sipaglukosidaasi alfan kanssa raskaana oleville naisille. Miglustaatti läpäisee istukan. Eläinkokeet yhdistelmän käytöstä sipaglukosidaasi alfan kanssa sekä pelkän miglustaatin käytöstä ovat osoittaneet lisääntymistoksisuutta (ks. kohta 5.3). Miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfa -hoidon yhdistelmän käyttöä ei suositella raskauden aikana.

Imetys

Ei tiedetä, erittyykö/erittyvätkö miglustaatti ja sipaglukosidaasi alfa ihmisen rintamaitoon (ks. kohta 5.3). Olemassa olevat farmakodynaamiset/toksikologiset tiedot koe-eläimistä ovat osoittaneet miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfan erittyvän rintamaitoon. Vastasyntyneeseen/imeväiseen kohdistuvia riskejä ei voida poissulkea. On päätettävä, lopetetaanko rintaruokinta vai lopetetaanko miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfa -hoidon yhdistelmä ottaen huomioon rintaruokinnasta aiheutuvat hyödyt lapselle ja hoidosta koituvat hyödyt äidille.

Hedelmällisyys

Ei ole olemassa kliinisiä tietoja miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfa -hoidon yhdistelmän vaikutuksista hedelmällisyyteen.

Seitsemällä terveellä aikuisella miehellä, jotka saivat miglustaattia 100 mg suun kautta kahdesti päivässä 6 viikon ajan, ei havaittu vaikutuksia siittiöiden pitoisuuteen, liikkuvuuteen tai morfologiaan spermassa.

Urosrotilla ei havaittu mitään vaikutusta spermatogeneesiin, kun miglustaattia annettiin yhdessä sipaglukosidaasi alfan tai pelkän miglustaatin kanssa. Prekliiniset tiedot rotilla tehdyistä tutkimuksista, joissa käytettiin toista miglustaattia, ovat kuitenkin osoittaneet, että miglustaatti vaikuttaa haitallisesti sperman parametreihin (siittiöiden motiliteetti ja morfologia), mikä vähentää hedelmällisyyttä (ks. kohta 5.3).

Naarasrotilla havaittiin ennen istutusta tapahtuvan alkuioiden menehtymisen lisääntymistä käytettäessä miglustaattia yhdessä sipaglukosidaasi alfan kanssa ja pelkän miglustaatin kanssa (ks. kohta 5.3).

4.7 Vaikutus ajokykyyn ja koneidenkäyttökykyyn

Miglustaatilla ei ole haitallista vaikutusta ajokykyyn ja koneidenkäyttökykyyn.

4.8 Haittavaikutukset

Turvallisuusprofiilin yhteenveto

Yleisimmin ilmoitettu haittavaikutus, joka liittyi vain 65 mg:n miglustaattiannokseen, oli ummetus (1,3 %).

Haittavaikutustaulukko

Haittavaikutusten arviointiin saatiin tietoja tutkittavien, joita hoidettiin miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfa -hoidon yhdistelmällä kolmessa kliinisessä lääketutkimuksessa, yhdistetystä turvallisuusanalyysistä. Altistuksen keskimääräinen kokonaiskesto oli 28,0 kuukautta.

Taulukossa 1 on lueteltu haittavaikutukset MedDRA-elinjärjestelmäluokan perusteella jaoteltuina. Esiintymistiheydet on määritelty seuraavasti: hyvin yleinen ($\geq 1/10$), yleinen ($\geq 1/100$, $< 1/10$), melko harvinainen ($\geq 1/1\,000$, $< 1/100$), harvinainen ($\geq 1/10\,000$, $< 1/1\,000$), hyvin harvinainen ($< 1/10\,000$) ja tuntematon (koska saatavissa oleva tieto ei riitä esiintyvyyden arviointiin).

Taulukko 1: Yhteenveto haittavaikutuksista miglustaattihoitoa saaneilla potilailla

Elinjärjestelmäluokka (SOC)	Esiintymistiheys	Haittavaikutus (suositeltu termi)
Immuunijärjestelmä	Yleinen	Anafylaktinen reaktio ⁷
	Melko harvinainen	Yliherkkyys
Hermosto	Hyvin yleinen	Päänsärky
	Yleinen	Vapina, dysgeusia, parestesia
	Melko harvinainen	Tasapainohäiriö, migreeni ⁴
Sydän	Yleinen	Takykardia ⁶
Verisuonisto	Yleinen	Hypotensio
	Melko harvinainen	Kalpeus
Hengityselimet, rintakehä ja välikarsina	Yleinen	Hengenahdistus
	Melko harvinainen	Astma

Ruoansulatuselimistö	Yleinen	Ripuli, pahoinvointi, vatsakipu ¹ , ilmavaivat, vatsan turpoaminen, oksentelu, ummetus [†]
	Melko harvinainen	Epämukava tunne vatsassa [†] , ruokatorven spasmi, suun kipu
Iho ja ihonalainen kudος	Yleinen	Urtikaria ³ , ihottuma ² , kutina, hyperhidroosi
	Melko harvinainen	Ihon värimuutokset
Luusto, lihakset ja sidekudos	Yleinen	Lihaskouristukset, lihaskipu, nivelkipu, lihasheikkous
	Melko harvinainen	Kylkikipu, lihasväsymys, muskuloskeletaalin jäykkyys
Yleisoireet ja antopaikassa todettavat haitat	Yleinen	Väsymys/uupumus, kuume, vilunväristykset, perifeerinen turvotus
	Melko harvinainen	Astenia, kasvokipu, jännittyneisyyden tunne [†] , ei-sydänperäinen rintakipu
Tutkimukset	Yleinen	Kohonnut verenpaine ⁵
	Melko harvinainen	Lymfosyyttien määrän väheneminen, verihiutaleiden määrän väheneminen [†]

[†] Raportoitu vain miglustaatin käytön yhteydessä

¹ Vatsakipu, ylävatsakipu ja alavatsakipu on ryhmitelty vatsakivun alle.

² Ihottuma ja punoittava ihottuma on ryhmitelty ihottuman alle.

³ Urtikaria, urtikariaihottuma ja mekaaninen urtikaria on ryhmitelty urtikarian alle.

⁴ Migreeni ja auraoireinen migreeni on ryhmitelty migreenin alle.

⁵ Hypertensio ja kohonnut verenpaine on ryhmitelty kohonneen verenpaineen alle.

⁶ Takykardia ja sinustakykardia on ryhmitelty takykardian alle.

⁷ Anafylaksi, anafylaktinen reaktio ja anafylaktoidinen reaktio on ryhmitelty anafylaktisen reaktion alle.

Epäillyistä haittavaikutuksista ilmoittaminen

On tärkeää ilmoittaa myyntiluvan myöntämisen jälkeisistä lääkevalmisteen epäillyistä haittavaikutuksista. Se mahdollistaa lääkevalmisteen hyöty-haittasapainon jatkuvan arvioinnin. Terveystieteiden tutkimuskeskusta pyydetään ilmoittamaan kaikista epäillyistä haittavaikutuksista [liitteessä V](#) luetellun kansallisen ilmoitusjärjestelmän kautta.

4.9 Yliannostus

Oireet

Leukopeniaa, granulositytopeniaa, neutropeniaa, heitehuimausta ja parestesiaa on havaittu ihmisen immuunikatovirusta (HIV) sairastavilla potilailla, jotka saivat miglustaattia vähintään annoksella 800 mg/vrk.

Hoito

Yliannostuksen sattuessa on välittömästi annettava tukihoitoa. Täydellistä verenkuva on seurattava valkosolujen määrän vähentymisen varalta.

5. FARMAKOLOGISET OMINAISUUDET

5.1 Farmakodynamiikka

Farmakoterapeuttinen ryhmä: Muut ruoansulatuselimistön sairauksien ja aineenvaihduntasairauksien lääkkeet. ATC-koodi: A16AX06

Vaikutusmekanismi

Miglustaatti on sipaglukosidaasi alfan farmakokineettinen entsyymiä vakauttava aine.

Miglustaatti sitoutuu selektiivisesti sipaglukosidaasi alfan kanssa veressä infuusion aikana. Tämä vakauttaa sipaglukosidaasi alfan konformaatiota ja minimoi entsyymiaktiivisuuden menetyksen verenkierron olon aikana. Tämä selektiivinen sitoutuminen sipaglukosidaasi alfan ja miglustaatin välillä on ohimenevää. Disassosiaatio tapahtuu lysosomissa. Miglustaatilla ei yksinään ole vaikutusta glykokeenin vähenemiseen.

Pediatriset potilaat

Euroopan lääkevirasto on myöntänyt lykkäyksen velvoitteelle toimittaa tutkimustulokset Opfolda-valmisteen käytöstä glykokeenin varastointisairaudesta tyypin II (Pompen tauti) hoidossa yhdessä tai useammassa pediatrisessa potilasryhmässä (ks. kohdasta 4.2 ohjeet käytöstä pediatristen potilaiden hoidossa).

5.2 Farmakokinetiikka

Imeytyminen

Miglustaatin imeytymisnopeus ($t_{\max}$) oli noin 2–3 tuntia. 260 mg:n kliinisellä annoksella plasman miglustaattipitoisuuden $C_{\max}$ -arvo oli noin 3 000 ng/ml ja $AUC_{0-\infty}$ -arvo noin 25 000 ng h/ml.

Ruoan vaikutus

Merkittävää ruoan tuottamaa vaikutusta havaittiin, ja se johti $C_{\max}$ -pitoisuuden vähenemiseen 36 %:lla ja imeytymisen hidastumiseen noin 2 tunnilla (ks. kohta 4.2).

Metabolia

Miglustaatti ei metaboloitu suurelta osin, ja < 5 % radioleimatusta annoksesta palautuu glukuronideina.

Miglustaatti ei ole OAT1-, OAT3-, OATP1B1-, OATP1B3-, MATE1-, MATE2-K-, BCRP- tai BSEP-substraatti. Miglustaatti on heikko P-glykoproteiinin (P-gp) substraatti ja sisäänottokuljettajaproteiinien OCT1 (ilmentyy maksassa) ja OCT2 (ilmentyy munuaisissa) substraatti. Koska miglustaatti erittyy suurelta osin munuaisten kautta metaboloitumattomana, OCT1-estäjien ei odoteta johtavan kliinisesti merkitykselliseen yhteisvaikutukseen. Vaikeaa munuaisten vajaatoimintaa sairastavien potilaiden tietojen perusteella OCT2-estäjillä ei odoteta olevan kliinisesti merkittävää vaikutusta miglustaatin erittymiseen ja altistumiseen munuaisten kautta. P-glykoproteiinin (P-gp) estäjien ei odoteta johtavan kliinisesti merkitykselliseen yhteisvaikutukseen miglustaatin kanssa suolistossa paastosuositusten ja miglustaatin nopean imeytymisen ($t_{\max}$ 2 tuntia) perusteella.

Miglustaatti ei ole sytokromi P450 -entsyymien tunnettu substraatti tai estäjä; näin ollen merkittävät yhteisvaikutukset ovat epätodennäköisiä lääkkeiden kanssa, jotka ovat sytokromi P450 -entsyymien substraatteja.

In vitro -kuljettajaproteiiniinijatkutkimuksen perusteella miglustaatti ei ole OAT1-, OAT3-, OCT1-, OCT2-, OATP1B1-, OATP1B3- tai BSEP-kuljettajaproteiinien estäjä. Kliinisesti merkittäviä yhteisvaikutuksia suolistossa P-gp- ja BCRP-substraattien kanssa ja maksassa porttilaskimossa OCT1:n, OATP1B1:n ja OATP1B3:n kanssa ei odoteta paastosuositusten ja miglustaatin nopean imeytymisen perusteella.

Eliminaatio

Miglustaatin terminaalinen eliminaation puoliintumisaika oli noin 6 tuntia. Oraalinen puhdistuma oli noin 10,5 l/h ja terminaalivaiheen jakautumistilavuus oli noin 90 l.

Lineaarisuus/ei-lineaarisuus

Miglustaattilla havaittiin olevan annokseen suhteessa oleva kinetiikka.

Erityisryhmät

Sukupuoli, iäkkäät ja rotu/etninen alkuperä

Yhdistetyn populaatiofarmakokineettisen analyysin perusteella sukupuolella, iällä (18–74 vuotta) ja rodulla/etnisellä alkuperällä ei ollut kliinisesti merkittävää vaikutusta miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfan yhdistelmän altistukseen.

Maksan vajaatoiminta

Miglustaatin farmakokineetiikkaa yhdessä sipaglukosidaasi alfa -hoidon kanssa ei ole arvioitu maksan vajaatoimintaa sairastavilla potilailla.

Munuaisten vajaatoiminta

Miglustaatin $AUC_{0-24\text{ h}}$ -arvo lisääntyi 21 %:lla, 32 %:lla ja 41 %:lla potilailla, joilla on lievä (kreatiniinipuhdistuma [CLcr] 60–89 ml/minuutti, Cockcroft-Gault-yhtälöllä arvioituna), kohtalainen (CLcr 30–59 ml/minuutti) ja vaikea (CLcr 15–29 ml/minuutti) munuaisten vajaatoiminta, verrattuna potilaisiin, joiden munuaisten toiminta oli normaalia. Loppuvaiheen munuaissairauden vaikutusta miglustaatin farmakokineetiikkaan ei tunneta.

5.3 Prekliiniset tiedot turvallisuudesta

Farmakologista turvallisuutta, kerta-annoksen ja toistuvan altistuksen aiheuttamaa toksisuutta, genotoksisuutta ja mutageenisuutta koskevien konventionaalisten tutkimusten tulokset eivät viittaa erityiseen vaaraan ihmisille.

Hiirten paksusuolen karsinomia esiintyi ajoittain suun kautta annetun miglustaattihoidon jälkeen annoksilla 210, 420 ja 840/500 mg/kg/vrk kahden vuoden ajan annettuina. Nämä annokset vastaavat 8-, 16- ja 33/19-kertaista annosta suhteessa ihmisen annokseen 200 mg kolme kertaa vuorokaudessa. Näiden löydösten merkitystä miglustaattia käyttäville ihmisille ei tunneta Pompen taudin hoidossa käytettävillä merkittävästi pienemmillä tutkituilla annoksilla 195–260 mg joka toinen viikko.

Lisääntymis- ja kehitystoksikologia

Segmentin I tutkimuksessa urosrotilla miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfa -hoidon yhdistelmällä tai pelkästään miglustaattilla ei ollut vaikutusta spermatogeneesiin eläinkokeissa.

Toisessa rotilla tehdyssä miglustaattivalmisteen tutkimuksessa miglustaatti, jota annettiin suun kautta johti siementiehyiden ja kivesten atrofiaan/rappeutumiseen altistumiskertoimella 2,0, joka on suurin suositeltu kehon pinta-alaan (mg/m²) perustuva ihmisannos (MRHD). Myös rotilla, jotka saivat miglustaattia, havaittiin spermatogeenin heikentymistä sekä sperman morfologian ja motiliteetin muutoksia sekä hedelmällisyyden heikentymistä annoksilla, joiden altistus oli kerrannainen 0,6:lla suhteessa kehon pinta-alaan. Heikentynyt spermatogeneesi palautui rotilla 6 viikon kuluttua vaikuttavan aineen saannin loppumisesta.

Rotilla tehdyssä segmentin I hedelmällisyyttä ja varhaista alkion kehitystä koskevassa tutkimuksessa havaittiin ennen implantaatiota tapahtuvia keskenmenoja tutkimuksen naaraiden hedelmällisyyskomponentissa, sekä pelkkää miglustaattia saaneella ryhmällä että yhdistelmähoitoryhmällä. Tämän katsottiin liittyvän miglustaattiin. Yhdistelmähoidossa sipaglukosidaasi alfan ja miglustaatin MRHD:n marginaalit olivat 27-kertaiset ja miglustaatin 4-kertaiset plasman AUC-altistuksen perusteella.

Segmentin II alkion ja sikiön kehitystutkimuksessa ei havaittu sipaglukosidaasi alfasta tai miglustaatista suoraan johtuvia haittavaikutuksia tiineillä rotilla tai niiden jälkeläisillä.

Kaneilla tehdyssä alkion ja sikiön kehitystä koskevassa tutkimuksessa emovaikutuksia, mukaan lukien vähentynyttä ruuankulutusta ja painonnousua, havaittiin sekä pelkällä miglustaatilla että yhdistelmäryhmällä. Sipaglukosidaasi alfan ja miglustaatin yhdistelmä (mutta ei sipaglukosidaasi alfa ilman miglustaattia) johti kaneilla kardiovaskulaaristen epämuodostumien lisääntymiseen (atreettinen keuhkorunko, kammion väliseinän vajaatoiminta ja laajentunut aortan kaari) MRHD- kerta-annoksen perusteella 16-kertaisella sipaglukosidaasi alfalle altistuksella ja 3-kertaisella miglustaatille altistuksella ja tai kumulatiivisen annostuksen perusteella vastaavasti 112-kertaisesti ja 21-kertaisesti. Ei kuitenkaan voida poissulkea sitä mahdollisuutta, että kaneilla havaitut alkioon ja sikiöön kohdistuvat haittavaikutukset olisivat voineet ilmetä kerta-altistuksen jälkeen. Havaitsematonta haittavaikutusta (NOAEL) ei voitu määrittää yhdistelmäryhmälle, koska testattiin vain yksi yhdistelmäannos.

Segmentin III pre- ja postnataalisessa kehitystutkimuksessa rotilla ei havaittu haitallisia emon tai postnataalisen kehityksen vaikutuksia, jotka olisivat johtuneet suoraan sipaglukosidaasi alfasta tai miglustaatista. Yhdistelmähoitoryhmän rottien maidon arviointi osoitti miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfan erittymistä rotanmaitoon. 2,5 tuntia annoksen jälkeen rotan maidon sipaglukosidaasi alfalle altistumisen suhde plasmassa oli 0,038.

6. FARMASEUTTISET TIEDOT

6.1 Apuaineet

Kapselin sisältö

Esigelatinoitu tärkkelys (maissi)
Magnesiumstearaatti (E470b)
Mikrokiteinen selluloosa (E460i)
Sukraloosi (E955)
Kolloidinen piidioksidi

Kapselin kuori

Gelatiini
Titaanidioksidi (E171)
Musta rautaoksidi (E172)

Syömäkelpoinen painomuste

Musta rautaoksidi (E172)
Kaliumhydroksidi (E525)
Propyleeniglykoli (E1520)
Sellakka (E904)
Vahva ammoniakkiliuos (E527)

6.2 Yhteensopimattomuudet

Ei oleellinen.

6.3 Kestoaika

3 vuotta

6.4 Säilytys

Tämä lääkevalmiste ei vaadi erityisiä säilytysolosuhteita.

6.5 Pakkaustyyppi ja pakkauskoko

40 ml:n suurtheyspolyeteenipullo (HDPE), jossa on 33 mm:n valkoinen lapsiturvallinen polypropeenikorkki ja etiketti. Pullon aukko on suljettu induktiotiivistetyllä foliovuorauksella.

4 ja 24 kapselin pullot.

Kaikkia pakkauskokoja ei välttämättä ole myynnissä.

6.6 Erityiset varotoimet hävittämiselle

Käyttämätön lääkevalmiste tai jäte on hävitettävä paikallisten vaatimusten mukaisesti.

7. MYYNTILUVAN HALTIJA

Amicus Therapeutics Europe Limited
Block 1, Blanchardstown Corporate Park
Ballycoolin Road
Blanchardstown, Dublin
D15 AKK1, Irlanti
Sähköposti: info@amicusrx.co.uk

8. MYYNTILUVAN NUMERO(T)

EU/1/23/1737/001

EU/1/23/1737/002

9. MYYNTILUVAN MYÖNTÄMISPÄIVÄMÄÄRÄ/UUDISTAMISPÄIVÄMÄÄRÄ

Myyntiluvan myöntämisen päivämäärä: 26. kesäkuuta 2023

10. TEKSTIN MUUTTAMISPÄIVÄMÄÄRÄ

Lisätietoa tästä lääkevalmisteesta on Euroopan lääkeviraston verkkosivulla <http://www.ema.europa.eu>.

LIITE II

- A. ERÄN VAPAUTTAMISESTA VASTAAVA VALMISTAJA**
- B. TOIMITTAMISEEN JA KÄYTTÖÖN LIITTYVÄT EHDOT TAI RAJOITUKSET**
- C. MYYNTELUVAN MUUT EHDOT JA EDELLYTYKSET**
- D. EHDOT TAI RAJOITUKSET, JOTKA KOSKEVAT LÄÄKEVALMISTEEN TURVALLISTA JA TEHOKASTA KÄYTTÖÄ**

A. ERÄN VAPAUTTAMISESTA VASTAAVA VALMISTAJA

Erän vapauttamisesta vastaavan valmistajan nimi ja osoite

Manufacturing Packaging Farmaca (MPF) B.V.
Neptunus 12, Heerenveen, 8448CN, Alankomaat

B. TOIMITTAMISEEN JA KÄYTTÖÖN LIITTYVÄT EHDOT TAI RAJOITUKSET

Reseptilääke, jonka määräämiseen liittyy rajoitus (ks. liite I: valmisteyhteenvedon kohta 4.2).

C. MYYNTILUVAN MUUT EHDOT JA EDELLYTYKSET

• Määräaikaiset turvallisuuskatsaukset

Tämän lääkevalmisteen osalta velvoitteet määräaikaisten turvallisuuskatsausten toimittamisesta on määritetty Euroopan unionin viitepäivämäärät (EURD) ja toimittamisvaatimukset sisältävässä luettelossa, josta on säädetty Direktiivin 2001/83/EY 107 c artiklan 7 kohdassa, ja kaikissa luettelon myöhemmissä päivityksissä, jotka on julkaistu Euroopan lääkeviraston verkkosivuilla.

Myyntiluvan haltijan tulee toimittaa tälle valmisteelle ensimmäinen määräaikainen turvallisuuskatsaus kuuden kuukauden kuluessa myyntiluvan myöntämisestä.

D. EHDOT TAI RAJOITUKSET, JOTKA KOSKEVAT LÄÄKEVALMISTEEN TURVALLISTA JA TEHOKASTA KÄYTTÖÄ

• Riskienhallintasuunnitelma (RMP)

Myyntiluvan haltijan on suoritettava vaaditut lääketurvatoimet ja interventiot myyntiluvan moduulissa 1.8.2 esitetyn sovitun riskienhallintasuunnitelman sekä mahdollisten sovittujen riskienhallintasuunnitelman myöhempien päivitysten mukaisesti.

Päivitetty RMP tulee toimittaa

- Euroopan lääkeviraston pyynnöstä
- kun riskienhallintajärjestelmää muutetaan, varsinkin kun saadaan uutta tietoa, joka saattaa johtaa hyöty-riskiprofiilin merkittävään muutokseen, tai kun on saavutettu tärkeä tavoite (lääketurvatoiminnassa tai riskien minimoinnissa).

LIITE III
MYyntIPÄÄLLYSMERKINNÄT JA PAKKAUSSELOSTE

A. MYYNTIPÄÄLLYSMERKINNÄT

ULKOPAKKAUKSESSA ON OLTAVA SEURAAVAT MERKINNÄT**ULKOPAKKAUS****1. LÄÄKEVALMISTEEN NIMI**

Opfolda 65 mg kovat kapselit
miglustaatti

2. VAIKUTTAVA(T) AINE(ET)

Yksi kova kapseli sisältää 65 mg miglustaattia.

3. LUETTELO APUAINEISTA**4. LÄÄKEMUOTO JA SISÄLLÖN MÄÄRÄ**

Kapseli, kova

4 kovaa kapselia
24 kovaa kapselia

5. ANTOTAPA JA TARVITTAESSA ANTOREITTI (ANTOREITIT)

Lue pakkausseloste ennen käyttöä.

Suun kautta

6. ERITYISVAROITUS VALMISTEEN SÄILYTTÄMISESTÄ POISSA LASTEN ULOTTUVILTA JA NÄKYVILTÄ

Ei lasten ulottuville eikä näkyville.

7. MUU ERITYISVAROITUS (MUUT ERITYISVAROITUKSET), JOS TARPEEN

HUOM: Käytä Opfolda-valmistetta vain sipaglukosidaasi alfan kanssa.

8. VIIMEINEN KÄYTTÖPÄIVÄMÄÄRÄ

Käyt. viim.

9. ERITYISET SÄILYTYSOLOSUHTEET

10. ERITYISET VAROTOIMET KÄYTTÄMÄTTÖMIEN LÄÄKEVALMISTEIDEN TAI NIISTÄ PERÄISIN OLEVAN JÄTEMATERIAALIN HÄVITTÄMISEKSI, JOS TARPEEN

11. MYYNTILUVAN HALTIJAN NIMI JA OSOITE

Amicus Therapeutics Europe Limited
Block 1, Blanchardstown Corporate Park,
Ballycoolin Road, Blanchardstown,
Dublin D15 AKK1, Irlanti

12. MYYNTILUVAN NUMERO(T)

EU/1/23/1737/001 4 kovaa kapselia
EU/1/23/1737/002 24 kovaa kapselia

13. ERÄNUMERO

Lot

14. YLEINEN TOIMITTAMISLUOKITTELU

15. KÄYTTÖOHJEET

16. TIEDOT PISTEKIRJOITUKSELLA

opfolda

17. YKSILÖLLINEN TUNNISTE – 2D-VIIVAKOODI

18. YKSILÖLLINEN TUNNISTE – LUETTAVISSA OLEVAT TIEDOT

PC
SN
NN

PIENISSÄ SISÄPAKKAUKSISSA ON OLTAVA VÄHINTÄÄN SEURAAVAT MERKINNÄT
PULLON ETIKETTI

1. LÄÄKEVALMISTEEN NIMI JA TARVITTAESSA ANTOREITTI (ANTOREITIT)

Opfolda 65 mg kovat kapselit
miglustaatti

2. ANTOTAPA

Lue pakkausseloste ennen käyttöä.

Suun kautta

3. VIIMEINEN KÄYTTÖPÄIVÄMÄÄRÄ

Käyt. viim.

4. ERÄNUMERO

Lot

5. SISÄLLÖN MÄÄRÄ PAINONA, TILAVUUTENA TAI YKSIKKÖINÄ

Yksi kova kapseli sisältää 65 mg miglustaattia.

4 kovaa kapselia
24 kovaa kapselia

6. MUUTA

HUOM: Käytä Opfolda-valmistetta vain sipaglukosidaasi alfan kanssa.

Amicus Therapeutics Europe Limited
Dublin D15 AKK1, Irlanti

EU/1/23/1737/001 4 kovaa kapselia
EU/1/23/1737/002 24 kovaa kapselia

B. PAKKAUSSELOSTE

Pakkausseloste: Tietoa potilaalle

Opfolda 65 mg kovat kapselit miglustaatti

Lue tämä pakkausseloste huolellisesti ennen kuin aloitat tämän lääkkeen ottamisen, sillä se sisältää sinulle tärkeitä tietoja.

- Säilytä tämä pakkausseloste. Voit tarvita sitä myöhemmin.
- Jos sinulla on kysyttävää, käänny lääkärin, apteekkihenkilökunnan tai sairaanhoitajan puoleen.
- Tämä lääke on määrätty vain sinulle eikä sitä pidä antaa muiden käyttöön. Se voi aiheuttaa haittaa muille, vaikka heillä olisikin samanlaiset oireet kuin sinulla.
- Jos havaitset haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille, apteekkihenkilökunnalle tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu tässä pakkausselosteessa. Ks. kohta 4.

Tässä pakkausselosteessa kerrotaan:

1. Mitä Opfolda on ja mihin sitä käytetään
2. Mitä sinun on tiedettävä, ennen kuin otat Opfolda-valmistetta
3. Miten Opfolda-valmistetta otetaan
4. Mahdolliset haittavaikutukset
5. Opfolda-valmisteen säilyttäminen
6. Pakkauksen sisältö ja muuta tietoa

1. Mitä Opfolda on ja mihin sitä käytetään

Mitä Opfolda on

Opfolda on lääke, jota käytetään myöhään alkaneen Pompen taudin hoidossa aikuisilla. Lääkkeen vaikuttava aine on miglustaatti.

Mihin sitä käytetään

Opfolda-valmistetta käytetään aina toisen lääkkeen, sipaglukosidaasi alfan kanssa, joka on eräs entsyymikorvaushoidon tyyppi. Siksi on erittäin tärkeää, että luet myös sipaglukosidaasi alfan pakkausselosteen.

Jos sinulla on kysyttävää lääkkeistäsi, käänny lääkärin tai apteekkihenkilökunnan puoleen.

Miten Opfolda toimii

Pompen tautia sairastavilla henkilöillä on vähäinen hapan alfa-glukosidaasi (GAA) -entsyymin pitoisuus. Tämä entsyymi auttaa säätelemään glykokeenin määriä elimistössä (glykokeeni on eräs hiilihydraattityyppi).

Pompen taudissa kehon lihaksiin kertyy runsaasti glykokeenia. Tämä estää lihaksia, kuten kävelyä mahdollistavia lihaksia, hengittämistä edistäviä keuhkojen alla olevia lihaksia ja sydänlihasta, toimimasta kunnolla.

Opfolda sitoutuu sipaglukosidaasi alfaan hoidon aikana. Tämä tekee sipaglukosidaasi alfan muodosta vakaamman, joten se voi imeytyä helpommin verestä lihassoluihin, joiden toiminta on häiriintynyt Pompen taudin takia. Soluissa ollessaan sipaglukosidaasi alfa toimii happaman glukosidaasin tavoin ja auttaa pilkkomaan glykokeenia ja säätelemään sen määriä.

2. Mitä sinun on tiedettävä, ennen kuin otat Opfolda-valmistetta

Älä ota Opfolda-valmistetta

- jos olet allerginen miglustaatille tai tämän lääkkeen jollekin muulle aineelle (lueteltu kohdassa 6).
- jos olet allerginen sipaglukosidaasi alfalle.

Varoitukset ja varotoimet

Keskustele lääkärin, apteekkihenkilökunnan tai sairaanhoitajan kanssa ennen kuin otat Opfolda-valmistetta.

Varo vakavia haittavaikutuksia

Opfolda-valmistetta käytetään yhdessä sipaglukosidaasi alfan kanssa, joka on eräs entsyymikorvaushoidon (ERT) tyyppi. Tämän vuoksi sinun pitää lukea myös sipaglukosidaasi alfan pakkausseloste. Nämä lääkkeet voivat aiheuttaa haittavaikutuksia, joista sinun on kerrottava lääkärillesi välittömästi. Tämä sisältää allergiset reaktiot. Allergisten reaktioiden ilmentymät on lueteltu kohdassa 4 ”Allergiset reaktiot”. Ne voivat olla vaikeita, ja niitä voi esiintyä, kun sinulle annetaan lääkettä tai lääkkeenannon jälkeisinä tunteina.

Kerro lääkärille tai sairaanhoitajalle välittömästi, jos sinulla on infuusioon liittyviä reaktioita tai allergisia reaktioita tai jos epäilet, että sinulla saattaa olla niitä. Ennen kuin sinulle annetaan Opfolda-valmistetta, kerro lääkärille tai sairaanhoitajalle, jos sinulla on joskus ollut tällainen reaktio toisen entsyymikorvaushoidon käytön yhteydessä.

Lapset ja nuoret

Tätä lääkettä ei saa antaa alle 18-vuotiaille potilaille. Tämä johtuu siitä, että Opfolda-valmisteen ja sipaglukosidaasi alfan yhdistelmän vaikutuksia tässä ikäryhmässä ei tunneta.

Muut lääkevalmisteet ja Opfolda

Kerro lääkärille tai apteekkihenkilökunnalle, jos parhaillaan käytät, olet äskettäin käyttänyt tai saatat käyttää muita lääkkeitä. Tämä sisältää myös ilman reseptiä saatavat lääkkeet, mukaan lukien rohdosvalmisteet.

Raskaus ja imetys

Jos olet raskaana tai imetät, epäilet olevasi raskaana tai jos suunnittelet lapsen hankkimista, kysy lääkäriltä tai apteekista heti neuvoa ennen tämän lääkkeen käyttöä.

Opfolda-valmisteen käytöstä yhdessä sipaglukosidaasi alfan kanssa raskauden aikana ei ole kokemusta. Lääkäri keskustele kanssasi näiden lääkkeiden käyttöön liittyvistä riskeistä ja hyödyistä.

- Älä ota Opfolda-valmistetta ja/tai sipaglukosidaasi alfaa, jos olet raskaana. Kerro lääkärille välittömästi, jos tulet raskaaksi, epäilet olevasi raskaana tai jos suunnittelet tulevasi raskaaksi. Syntymättömään lapseen voi kohdistua riskejä.
- Opfolda-valmistetta ei saa antaa yhdessä sipaglukosidaasi alfan kanssa imettäville naisille. On päätettävä, lopetetaanko hoito vai lopetetaanko imetys.

Ehkäisy ja hedelmällisyys

Naispotilaiden, jotka voivat tulla raskaaksi, on käytettävä luotettavia ehkäisymenetelmiä näiden lääkkeiden käytön aikana ja neljän viikon ajan molempien lääkkeiden lopettamisen jälkeen.

Ajaminen ja koneiden käyttö

Opfolda-valmisteella ei ole haitallista vaikutusta ajokykyyn tai koneidenkäyttökykyyn. Lue myös sipaglukosidaasi alfan pakkausseloste, koska sipaglukosidaasi alfalla voi olla vaikutusta ajokykyyn ja koneidenkäyttökykyyn.

3. Miten Opfolda-valmistetta otetaan

Ota tätä lääkettä juuri siten kuin lääkäri on määrännyt. Tarkista ohjeet lääkäriltä tai apteekista, jos olet epävarma.

Miten paljon Opfoldaa otetaan

- Opfolda (miglustaatti)-kapseleita on käytettävä yhdessä sipaglukosidaasi alfan kanssa. Katso myös sipaglukosidaasi alfan pakkausseloste.
- Jos painosi on vähintään 50 kg, suositeltu annos on 4 kapselia, jotka sisältävät kukin 65 mg miglustaattia.
- Jos painosi on 40–50 kg, suositeltu annos on 3 kapselia.

Miten usein Opfolda-valmistetta otetaan

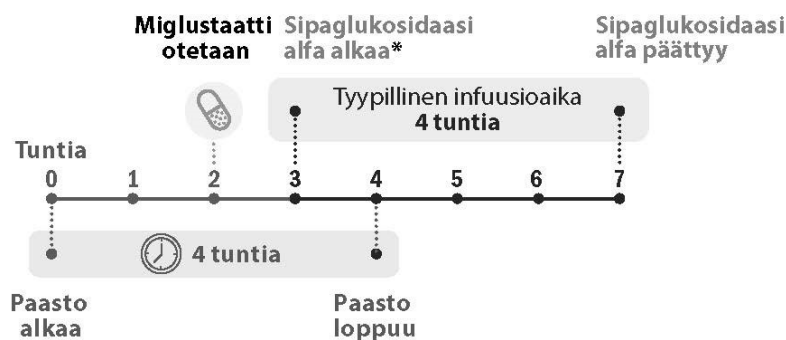
- Saat Opfolda-valmistetta ja sipaglukosidaasi alfaa joka toinen viikko. Molempia käytetään samana päivänä.
- Ota molemmat lääkkeet juuri siten kuin lääkäri on määrännyt, katso kuva 1. Näin hoitosi toimii mahdollisimman hyvin.

Opfolda ruuan kanssa

Sinun on otettava Opfolda suun kautta tyhjään vatsaan.

- Paastoa 2 tuntia ennen tämän lääkkeen ottamista ja 2 tuntia sen ottamisen jälkeen.
- Tämän neljän tunnin paastojakson aikana voit nauttia vettä, rasvatonta lehmänmaitoa, ja teetä tai kahvia. Älä käytä kermaa, rasvaista/vähärasvaista lehmänmaitoa, muita maitoja, sokeria äläkä makeutusaineita. Teetä tai kahvin kanssa voit juoda rasvatonta lehmänmaitoa.
- Kahden tunnin kuluttua Opfolda-valmisteen ottamisen jälkeen voit jatkaa normaalia syömistä ja juomista.

Kuva 1. Annoksen aikajana



* Miglustaatti 65 mg kovat kapselit on otettava noin 1 tunti mutta enintään 3 tuntia ennen sipaglukosidaasi alfa -infuusion aloittamista.

Siirtyminen toisesta entsyymikorvaushoidosta

Jos sinua hoidetaan tällä hetkellä toisella entsyymikorvaushoidolla:

- Lääkärisi kertoo sinulle, milloin toinen entsyymikorvaushoito on lopetettava ennen Opfolda-hoidon aloittamista.
- Kerro lääkärillesi, kun olet saanut viimeisen annoksen.

Jos otat enemmän Opfolda-valmistetta kuin sinun pitäisi

Kerro lääkärille välittömästi tai mene sairaalaan, jos otat vahingossa useamman kapselin kuin mitä sinulle on määrätty. Tämän sattuesssa sinulla saattaa olla suurempi riski saada haittavaikutuksia tämän lääkkeen käytön yhteydessä (ks. kohta 4). Lääkärisi antaa asianmukaista tukihoitoa.

Jos unohdat ottaa Opfolda-valmistetta

Jos Opfolda-annos jää sinulta väliin, keskustele lääkärin tai sairaanhoitajan kanssa. Ota välittömästi yhteyttä lääkäriin tai sairaanhoitajaan aloittaaksesi miglustaatin ja sipaglukosidaasi alfan yhdistelmän käytön uudella aikataululla mahdollisimman pian.

Jos lopetat Opfolda-valmisteen käytön

Keskustele lääkärisi kanssa, jos haluat lopettaa Opfolda-hoidon. Sairautesi oireet voivat pahentua, jos lopetat hoidon.

4. Mahdolliset haittavaikutukset

Kuten kaikki lääkkeet, tämäkin lääke voi aiheuttaa haittavaikutuksia. Kaikki eivät kuitenkaan niitä saa.

Opfolda-valmistetta käytetään yhdessä sipaglukosidaasi alfan kanssa, ja haittavaikutuksia voi esiintyä kumpaan tahansa näistä lääkkeistä liittyen.

Seuraavia haittavaikutuksia voi esiintyä:

Allergiset reaktiot

Allergisten reaktioiden oireita voivat olla mm. ihottuma missä tahansa kohtaa kehossa, turvonneet silmät, pitkittyneet hengitysvaikeudet, yskä, huulten, kielen tai kurkun turvotus, kutiseva iho ja nokkosihottuma.

Kerro lääkärille tai sairaanhoitajalle välittömästi, jos sinulla on allergisia reaktioita tai jos epäilet, että sinulla saattaa olla niitä. Kerro lääkärille tai sairaanhoitajalle, jos olet joskus saanut tällaisen reaktion.

Hyvin yleiset (voivat esiintyä useammalla kuin yhdellä henkilöllä 10:stä)

- päänsärky

Yleiset (voivat esiintyä enintään yhdellä henkilöllä 10:stä)

- vakava ja hengenvaarallinen allerginen reaktio (anafylaktinen reaktio)
- vapina
- makuaistin muutos
- puutumisen ja pistelyn tunne (parestesia)
- nopea syke
- matala verenpaine
- hengenahdistus
- ripuli
- pahoinvointi
- vatsakipu
- ilmavaivat
- turvotus
- oksentelu
- ummetus
- nokkosihottuma
- ihottuma
- kutiava iho
- liikahikoilu
- kivuliaat lihaskrampit
- lihaskipu

- lihasheikkous
- kipu nivelissä
- väsymys
- kuume
- vilunväristykset
- kämmenten, jalkaterien, nilkkojen tai säärien turvotus
- verenpaineen nousu.

Melko harvinaiset (voivat esiintyä enintään yhdellä henkilöllä 100:sta)

- allerginen reaktio
- kyvyttömyys säilyttää tai ylläpitää tasapainoa
- migreeni
- ihon epätavallinen kalpeus
- astma
- epämukava tunne vatsassa
- kivuliaat ruokatorven supistukset
- kipu suussa
- ihon värimuutokset
- kipu lonkan ja kylkiluun välisellä alueella
- lihasväsymys
- lihasjäykkyys
- heikkouden tunne
- posken, ikenien, huulten tai leuan kipu
- jännittyneisyyden tunne
- kipu rinnassa.

Haittavaikutuksista ilmoittaminen

Jos havaitset haittavaikutuksia, kerro niistä lääkärille, apteekkihenkilökunnalle tai sairaanhoitajalle. Tämä koskee myös sellaisia mahdollisia haittavaikutuksia, joita ei ole mainittu tässä pakkausselosteessa. Voit ilmoittaa haittavaikutuksista myös suoraan [liitteessä V](#) luetellun kansallisen ilmoitusjärjestelmän kautta. Ilmoittamalla haittavaikutuksista voit auttaa saamaan enemmän tietoa tämän lääkevalmisteen turvallisuudesta.

5. Opfolda-valmisteen säilyttäminen

Ei lasten ulottuville eikä näkyville.

Älä käytä tätä lääkettä pullossa ja kotelossa mainitun viimeisen käyttöpäivämäärän (EXP) jälkeen. Viimeinen käyttöpäivämäärä tarkoittaa kuukauden viimeistä päivää.

Tämä lääkevalmiste ei vaadi erityisiä säilytysolosuhteita.

Lääkkeitä ei pidä heittää viemäriin eikä hävittää talousjätteiden mukana. Kysy käyttämättömien lääkkeiden hävittämisestä apteekista. Näin menetellen suojelet luontoa.

6. Pakkauksen sisältö ja muuta tietoa

Mitä Opfolda sisältää

- Vaikuttava aine on miglustaatti. Yksi kova kapseli sisältää 65 mg miglustaattia.
- Muut aineet ovat:

Kapselin sisältö

Esigelatinoitu tärkkelys (maissi)
Magnesiumstearaatti (E470b)
Mikrokiteinen selluloosa (E460i)
Sukraloosi (E955)
Kolloidinen piidioksidi

Kapselin kuori

Gelatiini
Titaanidioksidi (E171)
Musta rautaoksidi (E172)

Syömäkelpoinen painomuste

Musta rautaoksidi (E172)
Kaliumhydroksidi (E525)
Propyleeniglykoli (E1520)
Vahva ammoniakkiliuos (E527)
Sellakka (E904)

Lääkevalmisteen kuvaus ja pakkauskoko (-koot)

4 ja 24 kapselin pullot.

Kaikkia pakkauskokoja ei välttämättä ole myynnissä.

Koon 2 kova kapseli, jossa on harmaa läpinäkymätön kansiosa ja valkoinen läpinäkymätön runko-osa. Kapselin runkoon on painettu mustalla värillä teksti ”AT2221”. Kapseli sisältää valkoista tai luonnonvalkoista jauhetta.

Myyntiluvan haltija

Amicus Therapeutics Europe Limited
Block 1, Blanchardstown Corporate Park
Ballycoolin Road
Blanchardstown, Dublin
D15 AKK1, Irlanti
Puh: +353 (0) 1 588 0836
Faksi: +353 (0) 1 588 6851
Sähköposti: info@amicusrx.co.uk

Valmistaja

Manufacturing Packaging Farmaca (MPF) B.V.
Neptunus 12, Heerenveen, 8448CN, Alankomaat

Lisätietoja tästä lääkevalmisteesta antaa myyntiluvan haltijan paikallinen edustaja:

Belgiä/Belgique/Belgien

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tél/Tel: (+32) 0800 89172
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Lietuva

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+370) 8800 33167
El. paštas: MedInfo@amicusrx.com

България

Amicus Therapeutics Europe Limited
Тел.: (+359) 00800 111 3214
имейл: MedInfo@amicusrx.com

Česká republika

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+420) 800 142 207
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Danmark

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tlf: (+45) 80 253 262
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Deutschland

Amicus Therapeutics GmbH
Tel: (+49) 0800 000 2038
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

Eesti

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+372) 800 0111 911
e-post: MedInfo@amicusrx.com

Ελλάδα

Amicus Therapeutics Europe Limited
Τηλ: (+30) 00800 126 169
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

España

Amicus Therapeutics S.L.U.
Tel: (+34) 900 941 616
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

France

Amicus Therapeutics SAS
Tél: (+33) 0 800 906 788
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Hrvatska

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+358) 0800 222 452
e-pošta: MedInfo@amicusrx.com

Ireland

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+353) 1800 936 230
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Ísland

Amicus Therapeutics Europe Limited
Sími: (+354) 800 7634
Netfang: MedInfo@amicusrx.com

Luxembourg/Luxemburg

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tél/Tel: (+352) 800 27003
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Magyarország

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+36) 06 800 21202
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Malta

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+356) 800 62674
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Nederland

Amicus Therapeutics BV
Tel: (+31) 0800 022 8399
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Norge

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tlf: (+47) 800 13837
e-post: MedInfo@amicusrx.com

Österreich

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+43) 0800 909 639
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

Polska

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+48) 0080 012 15475
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Portugal

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+351) 800 812 531
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

România

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+40) 0808 034 288
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Slovenija

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+386) 0800 81794
e-pošta: MedInfo@amicusrx.com

Slovenská republika

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+421) 0800 002 437
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Italia

Amicus Therapeutics S.r.l.
Tel: (+39) 800 795 572
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Κύπρος

Amicus Therapeutics Europe Limited
Τηλ: (+357) 800 97595
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Latvija

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+371) 800 05391
e-pasts: MedInfo@amicusrx.com

Suomi/Finland

Amicus Therapeutics Europe Limited
Puh/Tel: (+358) 0800 917 780
sähköposti/e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Sverige

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tfn: (+46) 020 795 493
e-post: MedInfo@amicusrx.com

United Kingdom (Northern Ireland)

Amicus Therapeutics, UK Limited
Tel: (+44) 08 0823 46864
e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Tämä pakkausseloste on tarkistettu viimeksi

Muut tiedonlähteet

Lisätietoa tästä lääkevalmisteesta on saatavilla Euroopan lääkeviraston verkkosivulla <http://www.ema.europa.eu/>. Siellä on myös linkkejä muille harvinaisia sairauksia ja niiden hoitoja käsitteleville verkkosivuille.