



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglusztát*)

Az Opfolda-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Opfolda és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Opfolda felnőtteknél a késői megjelenésű Pompe-kór (savas alfa-glükózidáz [GAA] hiány) kezelésére alkalmazott gyógyszer. Ez egy örökletes betegség, amelynek során a betegeknél légzési nehézség és izomgyengeség lép fel. Egy másik gyógyszerrel, az alfa-cipaglükózidázzal kombinációban alkalmazzák.

Az Opfolda „hibrid gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy hasonló a referencia-gyógyszerhez abban a tekintetben, hogy ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza, de más hatáserősségű kapszulák formájában kapható. Az Opfolda referencia-gyógyszere a Zavesca.

Az Opfolda hatóanyaga a miglusztát.

Hogyan kell alkalmazni az Opfolda-t?

Az Opfolda kapszulákat szájon át, körülbelül 1 órával, de legfeljebb 3 órával az alfa-cipaglükózidáz infúzió kezdete előtt kell bevenni.

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a Pompe-kórban vagy hasonló betegségekben szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell felügyelnie.

Az Opfolda alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását az Opfolda?

Az Opfolda hatóanyaga, a miglusztát a kezelés során kötődik az alfa-cipaglükózidázhoz. Ez stabilabbá teszi az alfa-cipaglükózidázt, így azt a Pompe-kórral érintett izomsejtek továbbra is felszívhatják a vérből.

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



Milyen előnyei voltak az Opfolda alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban, amelyben 125, Pompe-kórban szenvedő felnőtt vett részt, az Opfolda és az alfa-cipaglükózidáz kombináció hatásait az alfa-αglükózidáz (a Pompe-kór kezelésére szolgáló másik gyógyszer) és a placebo (hatóanyag nélküli kezelés) hatásaival hasonlították össze.

A vizsgálat azt mutatta, hogy egy év kezelést követően a betegek által hat perc alatt sétálva megtett távolság körülbelül 20 méterrel nőtt az Opfolda-val és alfa-cipaglükózidázzal kezelt betegeknél, szemben az alfa-αglükózidázzal és placebóval kezelt betegeknél tapasztalt, körülbelül 8 méteres javulással. Ezt a különbséget klinikailag relevánsnak tekintették.

Milyen kockázatokkal jár az Opfolda alkalmazása?

Az Opfolda alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Opfolda leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a székrekedés.

Az Opfolda nem alkalmazható olyan személyeknél, akik nem kaphatnak alfa-cipaglükózidázt.

Miért engedélyezték az Opfolda forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Opfolda és az alfa-cipaglükózidáz együttes hatása klinikailag releváns, és alkalmazásuk alternatív kezelési lehetőséget kínál a késői megjelenésű Pompe-kórban szenvedő felnőtt betegek számára. A kombináció biztonságossági profilját elfogadhatónak és az alfa-αglükózidáz biztonságossági profiljával összehasonlíthatónak tartják.

Az Ügynökség megállapította, hogy az Opfolda alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Opfolda biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Opfolda biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Opfolda alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Opfolda alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Opfolda-val kapcsolatos egyéb információ

Az Opfolda-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.