



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustats*)

Opfolda pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Opfolda* un kāpēc tās lieto?

Opfolda ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pieaugušos ar vēlinu Pompes slimību (skābās alfa glikozidāzes [GAA] deficītu), iedzimtu slimību, kuras gadījumā pacientiem ir elpošanas grūtības un muskuļu vājums. Tās lieto kombinācijā ar citām zālēm, t. i., alfa cipaglukozidāzi.

Opfolda ir "hibrīdzāles". Tas nozīmē, ka tās ir līdzīgas "atsauces zālēm", kas satur to pašu aktīvo vielu, bet tās ir pieejamas kā dažāda stipruma kapsulas. *Opfolda* atsauces zāles ir *Zavesca*.

Opfolda satur aktīvo vielu miglustatu.

Kā lieto *Opfolda*?

Opfolda kapsulas iekšķīgi lieto aptuveni 1 stundu, bet ne vairāk kā 3 stundas pirms alfa cipaglukozidāzes infūzijas (pa pilienam).

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzrauga ārstam ar pieredzi Pompes slimības vai līdzīgu slimību ārstēšanā.

Papildu informāciju par *Opfolda* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Opfolda* darbojas?

Opfolda aktīvā viela miglustats piesaistās pie alfa cipaglikozidāzes ārstēšanas laikā. Tā padara alfa cipaglikozidāzi stabilāku, lai turpinātu to absorbēt no asinīm ar Pompes slimības skartajām muskuļu šūnām.

Kādi *Opfolda* ieguvumi atklāti pētījumos?

Vienā pamatpētījumā, kurā piedalījās 125 pieaugušie ar Pompes slimību, *Opfolda* kombinācijas ar alfa cipaglukozidāzes iedarbību salīdzināja ar alfa alglukozidāzes (citas zāles Pompes slimības ārstēšanai) un placebo (fiktīva ārstēšana) iedarbību.

Pētījumā pierādīja, ka pēc viena gada ārstēšanas attālumš, ko pacienti varēja noiet sešās minūtēs, pacientiem, kurus ārstēja ar *Opfolda* un alfa cipaglikozidāzi, uzlabojās par apmēram 20 metriem,

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



salīdzinot ar uzlabošanos par aptuveni 8 metriem pacientiem, kuri lietoja alfa alglikozidāzi un placebo. Šī atšķirība tika uzskatīta par klīniski nozīmīgu.

Kāds risks pastāv, lietojot *Opfolda*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Opfolda*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Opfolda* blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir aizcietējums.

Opfolda nedrīkst lietot cilvēki, kuri nevar lietot alfa cipaglikozidāzi.

Kāpēc *Opfolda* ir reģistrētas ES?

Eiropas Zāļu aģentūra secināja, ka *Opfolda* iedarbība kombinācijā ar alfa cipaglukozidāzi ir klīniski nozīmīga un ka to lietošana piedāvā alternatīvu ārstēšanas iespēju pieaugušiem pacientiem ar vēlīnu Pompes slimību. Kombinācijas drošuma profils tiek uzskatīts par pieņemamu un salīdzināmu ar alfa alglikozidāzes drošības profilu.

Tādēļ aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Opfolda*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Opfolda* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Opfolda* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Opfolda* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Opfolda*

Sīkāka informācija par *Opfolda* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.