



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Opfolda (*miglustat*)

Ħarsa ġenerali lejn Opfolda u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Opfolda u għal xiex jintuża?

Opfoda huwa mediċina li tintuża fit-trattament ta' adulti bil-marda ta' Pompe li tfeġġ tard (nuqqas tal-aċidu alpha-glucosidase [GAA]), disturb li jintiret fejn il-pazjenti jkollhom diffikultajiet fit-teħid tan-nifs u dgħufija fil-muskoli. Jintuża flimkien ma' mediċina oħra, cipagluosidase alfa.

Opfolda huwa "mediċina ibrida". Dan ifisser li huwa simili għal "mediċina ta' referenza" li fiha l-istess sustanza attiva, iżda jiġi bħala kapsuli ta' qawwa differenti. Il-mediċina ta' referenza għal Opfolda hija Zavesca.

Opfolda fih is-sustanza attiva miglustat.

### Kif jintuża Opfolda?

Il-kapsuli ta' Opfolda jittieħdu mill-ħalq bejn wieħed u ieħor siegħa iżda mhux aktar minn 3 sigħat qabel infużjoni ta' cipagluosidase alfa (dripp).

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jiġi sorveljat minn tabib b'esperjenza fl-immaniġġar ta' pazjenti bil-marda ta' Pompe jew mard simili.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Opfolda, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

### Kif jaħdem Opfolda?

Is-sustanza attiva f'Opfolda, il-miglustat, tehel ma' cipagluosidase alfa matul it-trattament. Dan jagħmel cipagluosidase alfa aktar stabbli, sabiex ikun jista' jkompli jiġi assorbit mid-demm miċ-ċelluli tal-muskoli li huma affettwati mill-marda ta' Pompe.

### X'inhuma l-benefiċċji ta' Opfolda li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni wieħed fuq 125 adult bil-marda ta' Pompe qabbel l-effetti ta' Opfolda flimkien ma' cipagluosidase alfa ma' alglucosidase alfa (mediċina oħra kontra l-marda ta' Pompe) flimkien ma' placebo (trattament fint).



L-istudju wera li, wara sena ta' trattament, id-distanza li l-pazjenti setgħu jimxu f'sitt minuti tjebet b'madwar 20 metru f'pazjenti ttrattati b'Opfolda flimkien ma' cipaglucoṡidase alfa, meta mqabbla ma' titjib ta' madwar 8 metru f'pazjenti fuq alglucoṡidase alfa u placebo. Din id-differenza tqieset klinikament rilevanti.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Opfolda?**

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Opfolda, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Opfolda (li jista' jaffettwa sa persuna 1 minn kull 10) huwa l-istitikezza.

Opfolda ma għandux jintuża minn persuni li ma jistgħux jieħdu cipaglucoṡidase alfa.

## **Għaliex Opfolda ġie awtorizzat fl-UE?**

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini kkonkludiet li l-effetti ta' Opfolda flimkien ma' cipaglucoṡidase alfa huma klinikament rilevanti u li l-użu tagħhom joffri għażla alternattiva ta' trattament għal pazjenti adulti bil-marda ta' Pompe li tfeġġ tard. Il-profil tas-sigurtà tal-kombinazzjoni huwa kkunsidrat aċċettabbli u komparabbli ma' dak ta' alglucoṡidase alfa.

Għaldaqstant, l-Aġenzija ddecidiet li l-benefiċċji ta' Opfolda huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Opfolda?**

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Opfolda.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Opfolda hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Opfolda huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

## **Informazzjoni oħra dwar Opfolda**

Aktar informazzjoni dwar Opfolda tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda).