



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Opfolda (*miglustat*)

Een overzicht van Opfolda en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Opfolda en wanneer wordt het voorgeschreven?

Opfolda is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met laat verworven ziekte van Pompe (glycogeenstapelingsziekte type II of zure maltasedeficiëntie), een erfelijke aandoening die ademhalingsmoeilijkheden en spierzwakte veroorzaakt. Het wordt gebruikt in combinatie met een ander geneesmiddel, cipaglucosidase alfa.

Opfolda is een 'hybride geneesmiddel'. Dit betekent dat het gelijk is aan een 'referentiegeneesmiddel' dat dezelfde werkzame stof bevat, maar verkrijgbaar is in de vorm van capsules met een andere sterkte. Het referentiegeneesmiddel voor Opfolda is Zavesca.

Opfolda bevat de werkzame stof miglustat.

### Hoe wordt Opfolda gebruikt?

Opfoldacapsules worden via de mond ingenomen, ongeveer één uur – maar niet meer dan drie uur – vóór een infusie (indruppeling) met cipaglucosidase alfa.

Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe of soortgelijke aandoeningen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Opfolda.

### Hoe werkt Opfolda?

De werkzame stof in Opfolda, miglustat, hecht zich tijdens de behandeling aan cipaglucosidase alfa. Dit maakt cipaglucosidase alfa stabiel, zodat het verder uit het bloed kan worden geabsorbeerd door de spiercellen die door de ziekte van Pompe zijn getroffen.

### Welke voordelen bleek Opfolda tijdens de studies te hebben?

In een hoofdstudie onder 125 volwassenen met de ziekte van Pompe werden de effecten van Opfolda in combinatie met cipaglucosidase alfa vergeleken met het gebruik van alglucosidase alfa (nog een

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



ander geneesmiddel voor patiënten met de ziekte van Pompe) in combinatie met placebo (een schijnbehandeling).

Uit de studie bleek dat de patiënten die Opfolda in combinatie met cipaglucosidase alfa hadden gekregen, na één jaar behandeling in zes minuten ongeveer twintig meter verder konden lopen dan voordien, terwijl de patiënten die met alglucosidase alfa in combinatie met placebo waren behandeld een verbetering van ongeveer acht meter vertoonden. Dit verschil werd klinisch relevant geacht.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Opfolda in?**

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Opfolda.

De meest voorkomende bijwerking van Opfolda (die bij maximaal 1 op de 10 personen kan optreden) is constipatie.

Opfolda mag niet worden gebruikt door mensen die geen cipaglucosidase alfa kunnen innemen.

## **Waarom is Opfolda geregistreerd in de EU?**

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de effecten van Opfolda in combinatie met cipaglucosidase alfa klinisch relevant zijn en dat het gebruik ervan een alternatieve behandeloptie biedt voor volwassen patiënten met laat verworven ziekte van Pompe. Het veiligheidsprofiel van de combinatie werd aanvaardbaar geacht en als vergelijkbaar beschouwd met het profiel van alglucosidase alfa.

Het Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Opfolda groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Opfolda te waarborgen?**

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Opfolda, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Opfolda continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Opfolda worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

## **Overige informatie over Opfolda**

Meer informatie over Opfolda is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda).