



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Opfolda (*miglustat*)

Prezentare generală a Opfolda și motivele autorizării medicamentului în UE

### Ce este Opfolda și pentru ce se utilizează?

Opfolda este un medicament care se utilizează în tratamentul adulților cu boala Pompe cu debut tardiv (deficiență de acid alfa-glucozidază - GAA), o tulburare ereditară în care pacienții prezintă dificultăți de respirație și slăbiciune musculară. Se utilizează în asociere cu alt medicament, alfa-cipaglucozidază.

Opfolda este un „medicament hibrid”. Acest lucru înseamnă că este similar cu un „medicament de referință” care conține aceeași substanță activă, dar este disponibil sub formă de capsule de o concentrație diferită. Medicamentul de referință pentru Opfolda este Zavesca.

Opfolda conține substanța activă miglustat.

### Cum se utilizează Opfolda?

Capsulele de Opfolda se administrează pe cale orală cu aproximativ 1 oră, dar nu mai mult de 3 ore, înainte de perfuzia cu alfa-cipaglucozidază.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul pacienților cu boala Pompe sau cu boli similare.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Opfolda, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

### Cum acționează Opfolda?

În timpul tratamentului, substanța activă din Opfolda, miglustatul, se leagă de alfa-cipaglucozidază. Alfa-cipaglucozidaza devine astfel mai stabilă, putând fi absorbită în continuare din sânge de celulele musculare afectate de boala Pompe.

### Ce beneficii a prezentat Opfolda pe parcursul studiilor?

Un studiu principal pe 125 de adulți cu boala Pompe a comparat efectele Opfolda plus alfa-cipaglucozidază cu efectele alfa-alglucozidazei (alt medicament pentru boala Pompe) plus placebo (un preparat inactiv).

**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



Studiul a arătat că, după un an de tratament, distanța pe care pacienții au putut să o parcurgă în mers în șase minute s-a îmbunătățit cu aproximativ 20 de metri la pacienții tratați cu Opfolda plus alfa-cipaglucozidază, în comparație cu o îmbunătățire de aproximativ 8 metri la pacienții tratați cu alfa-alglucozidază și placebo. Această diferență a fost considerată relevantă din punct de vedere clinic.

## **Care sunt riscurile asociate cu Opfolda?**

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Opfolda, citiți prospectul.

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Opfolda (care poate afecta cel mult 1 persoană din 10) este constipația.

Opfolda este contraindicat la persoanele care nu pot lua alfa-cipaglucozidază.

## **De ce este Opfolda autorizat în UE?**

Agenția Europeană pentru Medicamente a concluzionat că efectele Opfolda în asociere cu alfa-cipaglucozidază sunt relevante din punct de vedere clinic și că utilizarea lor oferă o opțiune alternativă de tratament pentru pacienții adulți cu boală Pompe cu debut tardiv. Profilul de siguranță al combinației este considerat acceptabil și comparabil cu cel al alfa-alglucozidazei.

Prin urmare, agenția a hotărât că beneficiile Opfolda sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

## **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Opfolda?**

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Opfolda, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Opfolda sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Opfolda sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

## **Alte informații despre Opfolda**

Mai multe informații despre Opfolda se pot găsi pe site-ul agenției:

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