



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustat*)

Prehľad o lieku Opfolda a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Opfolda a na čo sa používa?

Opfolda je liek na liečbu dospelých s neskorou formou Pompeho choroby (nedostatkem kyseliny alfa-glukozidázy [GAA]), dedičnou poruchou, pri ktorej majú pacienti ťažkosti s dýchaním a svalovú slabosť. Používa sa v kombinácii s ďalším liekom, cipaglukozidázou alfa.

Opfolda je tzv. hybridný liek. To znamená, že sa podobá referenčnému lieku, ktorý obsahuje rovnaké liečivo, ale je dostupný vo forme kapsúl s inou silou. Referenčným liekom pre liek Opfolda je liek Zavesca.

Liek Opfolda obsahuje liečivo miglustat.

Ako sa liek Opfolda používa?

Kapsuly lieku Opfolda sa užívajú ústami približne 1 hodinu, ale najviac 3 hodiny pred infúziou cipaglukozidázy alfa (kvapkaním).

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a na liečbu má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s Pompeho chorobou alebo podobnými chorobami.

Viac informácií o používaní lieku Opfolda si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Opfolda účinkuje?

Liečivo lieku Opfolda, miglustat, sa počas liečby viaže na cipaglukozidázu alfa. Vďaka tomu je cipaglukozidáza alfa stabilnejšia, a preto ju môžu naďalej absorbovať z krvi svalové bunky, ktoré sú postihnuté Pompeho chorobou.

Aké prínosy lieku Opfolda boli preukázané v štúdiách?

V jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 125 dospelých s Pompeho chorobou, sa porovnávali účinky lieku Opfolda plus cipaglukozidázy alfa s alglukozidázou alfa (ďalším liekom na Pompeho ochorenie) a placebom (zdanlivým liekom).

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

V štúdii sa preukázalo, že po jednom roku liečby sa vzdialenosť, ktorú pacienti dokázali prejsť za šesť minút, zlepšila asi o 20 metrov u pacientov liečených liekom Opfolda plus cipaglukozidázou alfa v porovnaní so zlepšením približne o 8 metrov u pacientov užívajúcich alglukozidázu alfa a placebo. Tento rozdiel sa považoval za klinicky významný.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Opfolda?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Opfolda a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejší vedľajší účinok lieku Opfolda (ktorý môže postihnúť až 1 osobu z 10) je zápcha.

Liek Opfolda nesmú užívať osoby, ktoré nemôžu užívať cipaglukozidázu alfa.

Prečo bol liek Opfolda povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky dospela k záveru, že účinky lieku Opfolda v kombinácii s cipaglukozidázou alfa sú klinicky významné a že ich použitie ponúka alternatívnu možnosť liečby pre dospelých pacientov s neskorou formou Pompeho choroby. Bezpečnostný profil tejto kombinácie sa považuje za prijateľný a porovnateľný s bezpečnostným profilom alglukozidázy alfa.

Agentúra preto rozhodla, že prínosy lieku Opfolda sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Opfolda?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Opfolda boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Opfolda sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Opfolda sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Opfolda

Ďalšie informácie o lieku Opfolda sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.