



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Opfolda (*miglustat*)

Pregled zdravila Opfolda in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Opfolda in za kaj se uporablja?

Opfolda je zdravilo, ki se uporablja pri zdravljenju odraslih s poznim nastopom Pompejeve bolezni (pomanjkanjem encimske kisline alfa-glukozidaze [GAA]), tj. dedno boleznijo, pri kateri imajo bolniki težave z dihanjem in oslabeledostjo mišic. Uporablja se v kombinaciji z drugim zdravilom, cipaglukozidazo alfa.

Zdravilo Opfolda je „hibridno zdravilo“. To pomeni, da je podobno „referenčnemu zdravilu“, ki vsebuje enako učinkovino, vendar je na voljo v obliki kapsul z drugačno jakostjo. Referenčno zdravilo za zdravilo Opfolda je zdravilo Zavesca.

Zdravilo Opfolda vsebuje učinkovino miglustat.

### Kako se zdravilo Opfolda uporablja?

Kapsule zdravila Opfolda se jemljejo peroralno približno eno uro, vendar ne več kot tri ure pred infundiranjem (kapalno infuzijo) cipaglukozidaze alfa.

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z Pompejevo boleznijo ali podobnimi obolenji.

Za več informacij glede uporabe zdravila Opfolda glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

### Kako zdravilo Opfolda deluje?

Učinkovina v zdravilu Opfolda, miglustat, se med zdravljenjem veže na cipaglukozidazo alfa. Zaradi tega je cipaglukozidaza alfa stabilnejša, kar mišičnim celicam, ki jih je prizadela Pompejeva bolezen, omogoči, da jo lahko še naprej absorbirajo iz krvi.

### Kakšne koristi zdravila Opfolda so se pokazale v študijah?

V eni glavni študiji s 125 odraslimi bolniki s Pompejevo boleznijo so učinke zdravila Opfolda v kombinaciji s cipaglukozidazo alfa primerjali z alglukozidazo alfa (drugim zdravilom za zdravljenje Pompejeve bolezni) v kombinaciji s placebom (zdravilom brez učinkovine).

---

**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



Študija je pokazala, da se je po enem letu zdravljenja razdalja, ki so jo bolniki lahko prehodili v šestih minutah, izboljšala za približno 20 metrov pri bolnikih, ki so bili zdravljeni z zdravilom Opfolda v kombinaciji s cipaglukozidazo alfa, v primerjavi z izboljšanjem za približno osem metrov pri bolnikih, ki so prejeli alglukozidazo alfa in placebo. Ta razlika je bila ocenjena kot klinično pomembna.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Opfolda?**

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Opfolda glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Opfolda (ki se lahko pojavi pri največ 1 od 10 bolnikov) je zaprtje.

Zdravila Opfolda ne smejo uporabljati osebe, ki ne morejo jemati cipaglukozidaze alfa.

## **Zakaj je bilo zdravilo Opfolda odobreno v EU?**

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so učinki zdravila Opfolda v kombinaciji z cipaglukozidazo alfa klinično pomembni in da njihova uporaba predstavlja alternativno možnost zdravljenja za odrasle bolnike s poznim nastopom Pompejeve bolezni. Varnostni profil kombinacije zdravil je ocenjen kot sprejemljiv in primerljiv z varnostnim profilom alglukozidaze alfa.

Agencija je zato zaključila, da so koristi zdravila Opfolda večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Opfolda?**

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Opfolda upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Opfolda stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Opfolda, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

## **Druge informacije o zdravilu Opfolda**

Nadaljnje informacije za zdravilo Opfolda so na voljo na spletni strani agencije:

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