



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustat*)

Общ преглед на Opfolda и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Opfolda и за какво се използва?

Opfolda е лекарство, което се използва за лечение на възрастни с късно проявяваща се болест на Помпе (дефицит на кисела α -глюкозидаза [GAA]) — наследствено нарушение, при което пациентите имат затруднения в дишането и мускулна слабост. Използва се в комбинация с друго лекарство, ципаглюкозидаза алфа.

Opfolda е „хибридно лекарство“. Това означава, че е подобно на „референтно лекарство“, съдържащо същото активно вещество, но се предлага под формата на капсули с различна концентрация. Референтното лекарство на Opfolda е Zavesca.

Opfolda съдържа активното вещество миглустат (miglustat).

Как се използва Opfolda?

Капсулите Opfolda се приемат през устата приблизително 1 час, но не повече от 3 часа преди инфузия (вливане) на ципаглюкозидаза алфа.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се наблюдава от лекар с опит в лечението на пациенти с болест на Помпе или подобни заболявания.

За повече информация относно употребата на Opfolda вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Opfolda?

Активното вещество в Opfolda, миглустат, се свързва с ципаглюкозидаза алфа по време на лечението. Това прави ципаглюкозидаза алфа по-стабилна, така че може да продължи да се абсорбира от кръвта от мускулните клетки, засегнати от болестта на Помпе.

Какви ползи от Opfolda са установени в проучванията?

В едно основно проучване при 125 възрастни с болест на Помпе са сравнени ефектите на Opfolda плюс ципаглюкозидаза алфа с алглюкозидаза алфа (друго лекарство за болест на Помп) плюс плацебо (сляпо лечение).

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



Проучването показва, че след една година на лечение разстоянието, което пациентите могат да извървят за шест минути, се е подобрило с около 20 метра при пациентите, лекувани с Opfolda плюс цигулкозидаза алфа, в сравнение с подобрене от около 8 метра при пациентите, приемащи алглюкозидаза алфа и плацебо. Тази разлика се счита за клинично значима.

Какви са рисковете, свързани с Opfolda?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Opfolda вижте листовката.

Най-честата нежелана реакция при Opfolda (която може да засегне не повече от 1 на 10 души) е запек.

Opfolda не трябва да се използва от хора, които не могат да приемат ципаглюкозидаза алфа.

Защо Opfolda е разрешен за употреба в ЕС?

Европейската агенция по лекарствата заключи, че ефектите на Opfolda в комбинация с ципаглюкозидаза алфа са клинично значими и че тяхната употреба предлага алтернативна възможност за лечение на възрастни пациенти с късно проявяваща се болест на Помпе. Профилът на безопасност на комбинацията се счита за приемлив и сравним с този на алглюкозидаза алфа.

Поради това Агенцията реши, че ползите от употребата на Opfolda са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Opfolda?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Opfolda, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Opfolda непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Opfolda, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Opfolda:

Допълнителна информация за Opfolda можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.