



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustaat*)

Ülevaade ravimist Opfolda ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Opfolda ja milleks seda kasutatakse?

Opfolda on ravim, mida kasutatakse hilise algusega Pompe tõvega (happelise alfa-glükosidaasi (GAA) vaegus) täiskasvanute raviks. See on pärilik haigus, mille korral patsientidel esineb raskendatud hingamist ja lihassenõrkust. Seda kasutatakse koos teise ravimi, alfatsipaglükosidaasiga.

Opfolda on hübriidravim. See tähendab, et see sarnaneb võrdlusravimiga, mis sisaldab sama toimeainet, kuid seda turustatakse erineva tugevusega kapslitena. Opfolda võrdlusravim on Zavesca.

Opfolda sisaldab toimeainet miglustaati.

Kuidas Opfoldat kasutatakse?

Opfolda kapsleid võetakse suu kaudu ligikaudu 1 tund, kuid mitte rohkem kui 3 tundi enne alfatsipaglükosidaasi infusiooni.

Opfolda on retseptiravim. Ravi peab toimuma Pompe tõve või sarnaste haigustega patsientide ravis kogenud arsti järelevalve all.

Lisateavet Opfolda kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Opfolda toimib?

Opfolda toimeaine miglustaat seondub ravi ajal alfatsipaglükosidaasiga. See stabiliseerib alfatsipaglükosidaasi, et see imenduks verest Pompe tõvest kahjustatud lihaserakkudesse.

Mis on uuringute põhjal Opfolda kasulikkus?

Ühes põhiuuringus, milles osales 125 Pompe tõvega täiskasvanut, võrreldi Opfolda ja alfatsipaglükosidaasi toimet alfa-glükosidaasi (samuti Pompe tõve ravimi) ja platseebo (näiva ravimi) toimega.

Uuring tõendas, et pärast üheaastast ravi paranes 6 minuti kõndimiskaugus Opfolda ja alfatsipaglükosidaasiga ravitud patsientidel ligikaudu 20 meetri võrra ning alfa-glükosidaasi ja platseebot saanud patsientidel ligikaudu 8 meetri võrra. Seda erinevust peeti kliiniliselt oluliseks.

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



Mis on Opfolda riskid?

Opfolda kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Opfolda kõige sagedam kõrvalnäht (võib esineda kuni 1 patsiendil 10st) on kõhukinnisus.

Opfoldat ei tohi kasutada patsiendid, kes ei saa võtta alfatsipaglükosidaasi.

Miks Opfolda ELis heaks kiideti?

Euroopa Raviamet järeldas, et koos alfatsipaglükosidaasiga manustatava Opfolda toime on kliiniliselt oluline ja nende kasutamine annab hilise algusega Pompe tõvega täiskasvanud patsientidele alternatiivse ravivõimaluse. Selle ravimikombinatsiooni ohutusprofiili peetakse vastuvõetavaks ja võrreldavaks alfaalglükosidaasi ohutusprofiiliga.

Euroopa Raviamet otsustas, et Opfolda kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Opfolda ohutu ja efektiivne kasutamine?

Opfolda ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Opfolda kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Opfolda oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Opfolda kohta

Lisateave Opfolda kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.