



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustat*)

Aperçu d'Opfolda et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Opfolda et dans quel cas est-il utilisé?

Opfolda est un médicament utilisé dans le traitement des adultes atteints d'une forme tardive de la maladie de Pompe [déficit en alpha-glucosidase acide (GAA)], une maladie héréditaire dans laquelle les patients ont des difficultés à respirer et présentent une faiblesse musculaire. Il est utilisé en association avec un autre médicament, la cipaglucoSIDase alfa.

Opfolda est un «médicament hybride». Cela signifie qu'il est similaire à un «médicament de référence» contenant la même substance active, mais qu'il est disponible sous la forme de gélules à un dosage différent. Le médicament de référence pour Opfolda est Zavesca.

Opfolda contient la substance active miglustat.

Comment Opfolda est-il utilisé?

Les gélules d'Opfolda sont prises par voie orale environ une heure mais pas plus de trois heures avant une perfusion (goutte-à-goutte) de cipaglucoSIDase alfa.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être supervisé par un médecin expérimenté dans la prise en charge des patients atteints de la maladie de Pompe ou de maladies similaires.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Opfolda, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Opfolda agit-il?

La substance active d'Opfolda, le miglustat, se lie à la cipaglucoSIDase alfa pendant le traitement. Cela rend la cipaglucoSIDase alfa plus stable, de sorte qu'elle peut continuer à être absorbée à partir du sang par les cellules musculaires affectées par la maladie de Pompe.

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



Quels sont les bénéfices d’Opfolda démontrés au cours des études?

Une étude principale portant sur 125 adultes atteints de la maladie de Pompe a permis de comparer les effets d’Opfolda associé à la cipaglucoSIDase alfa à ceux de l’alglucoSIDase alfa (un autre médicament indiqué dans le traitement de la maladie de Pompe) et d’un placebo (un traitement fictif).

L’étude a montré qu’après un an de traitement, la distance que les patients pouvaient parcourir en marchant en six minutes avait progressé d’environ 20 mètres chez les patients traités par Opfolda en association avec la cipaglucoSIDase alfa, contre une amélioration d’environ 8 mètres chez les patients sous alglucoSIDase alfa et placebo. Cette différence a été considérée comme cliniquement pertinente.

Quels sont les risques associés à l’utilisation d’Opfolda?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Opfolda, voir la notice.

L’effet indésirable le plus couramment observé sous Opfolda (qui peut toucher jusqu’à une personne sur 10) est la constipation.

Opfolda ne doit pas être utilisé par les personnes qui ne peuvent pas prendre de cipaglucoSIDase alfa.

Pourquoi Opfolda est-il autorisé dans l’UE?

L’Agence européenne des médicaments a conclu que les effets d’Opfolda en association avec la cipaglucoSIDase alfa sont cliniquement pertinents et que leur utilisation offre une alternative thérapeutique pour les patients adultes atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe. Le profil de sécurité de l’association est considéré comme acceptable et comparable à celui de l’alglucoSIDase alfa.

L’Agence a donc estimé que les bénéfices d’Opfolda sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l’UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l’utilisation sûre et efficace d’Opfolda?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l’utilisation sûre et efficace d’Opfolda ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l’utilisation d’Opfolda sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Opfolda sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Opfolda:

De plus amples informations sur Opfolda sont disponibles sur le site web de l’Agence, sous:

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