



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Opfolda (*miglustat*)

Pregled informacija o lijeku Opfolda i zašto je odobren u EU-u

### Što je Opfolda i za što se koristi?

Opfolda je lijek koji se koristi za liječenje odraslih osoba s Pompeovom bolešću kasnog nastupa (nedostatkom kisele alfa-glukozidaze [engl. *acid alpha-glucosidase* – GAA]), nasljednim poremećajem kod kojeg bolesnici imaju poteškoće s disanjem i slabost mišića. Primjenjuje se u kombinaciji s drugim lijekom, cipaglukozidazom alfa.

Opfolda je „hibridni lijek“. To znači da je sličan „referentnom lijeku“ koji sadrži istu djelatnu tvar, ali dostupan je u obliku kapsula različite jačine. Referentni lijek za Opfolda je Zavesca.

Opfolda sadrži djelatnu tvar miglustat.

### Kako se Opfolda primjenjuje?

Kapsule Opfolda uzimaju se kroz usta otprilike jedan sat, ali ne više od tri sata, prije infuzije (ukapavanja) cipaglukozidaze alfa.

Lijek se izdaje samo na recept, a liječenje treba nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju osoba oboljelih od Pompeove bolesti ili sličnih bolesti.

Za više informacija o primjeni lijeka Opfolda pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

### Kako djeluje Opfolda?

Djelatna tvar lijeka Opfolda, miglustat, veže se tijekom liječenja na cipaglukozidazu alfa. Time cipaglukozidaza alfa postaje stabilnija, pa je mišićne stanice zahvaćene Pompeovom bolešću mogu i dalje apsorbirati iz krvi.

### Koje su koristi od lijeka Opfolda utvrđene u ispitivanjima?

U jednom glavnom ispitivanju u kojem je sudjelovalo 125 odraslih osoba s Pompeovom bolešću uspoređeni su učinci lijeka Opfolda u kombinaciji s cipaglukozidazom alfa s alglukozidazom alfa (drugim lijekom protiv Pompeove bolesti) i placebom (prividnim liječenjem).

---

**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



Ispitivanje je pokazalo da se nakon godinu dana liječenja udaljenost koju bolesnici mogu prehodati u šest minuta poboljšala za oko 20 metara u bolesnika liječenih lijekom Opfolda u kombinaciji s cipaglukozidazom alfa, u usporedbi s poboljšanjem od oko 8 metara u bolesnika koji su primali alglukozidazu alfa i placebo. Ta se razlika smatrala klinički relevantnom.

### **Koji su rizici povezani s lijekom Opfolda?**

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Opfolda potražite u uputi o lijeku.

Najčešća nuspojava lijeka Opfolda (može se javiti u manje od 1 na 10 osoba) je zatvor.

Lijek Opfolda ne smiju uzimati osobe koje ne mogu uzimati cipaglukozidazu alfa.

### **Zašto je lijek Opfolda odobren u EU-u?**

Europska agencija za lijekove zaključila je da su učinci lijeka Opfolda u kombinaciji s cipaglukozidazom alfa klinički relevantni i da njihova primjena nudi alternativnu mogućnost liječenja odraslih osoba s Pompeovom bolešću kasnog nastupa. Sigurnosni profil kombinacije smatra se prihvatljivim i usporediv je sa sigurnosnim profilom alglukozidaze alfa.

Stoga je Agencija zaključila da koristi od lijeka Opfolda nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

### **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Opfolda?**

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Opfolda nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Opfolda kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Opfolda pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

### **Ostale informacije o lijeku Opfolda**

Više informacija o lijeku Opfolda dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:

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