

I. MELLÉKLET
ALKALMAZÁSI ELŐÍRÁS

1. A GYÓGYSZER NEVE

Opfolda 65 mg kemény kapszula

2. MINŐSÉGI ÉS MENNYISÉGI ÖSSZETÉTEL

65 mg miglusztátot tartalmaz kemény kapszulánként.

A segédanyagok teljes listáját lásd a 6.1. pontban.

3. GYÓGYSZERFORMA

Kemény kapszula

2-es méretű kemény kapszula (6,35×18,0 mm) szürke, átlátszatlan kupakkal és fehér, átlátszatlan testtel, amelyen fekete „AT2221” felirat látható, és fehér vagy törtfehér port tartalmaz.

4. KLINIKAI JELLEMZŐK

4.1 Terápiás javallatok

Az Opfolda (miglusztát) enzimstabilizáló az alfa-cipaglükózidáz hosszú távú enzimpótló terápiában olyan felnőtteknél, akiknél késői megjelenésű Pompe-kór (savas α -glükózidáz- [GAA] hiány) áll fenn.

4.2 Adagolás és alkalmazás

A kezelést a Pompe-kórban vagy más örökletes metabolikus vagy neuromuscularis betegségekben szenvedő betegek kezelésében jártas orvosnak kell felügyelnie.

A miglusztát 65 mg kemény kapszulát alfa-cipaglükózidázzal együtt kell alkalmazni. A miglusztát szedése előtt el kell olvasni az alfa-cipaglükózidáz alkalmazási előírását (SmPC).

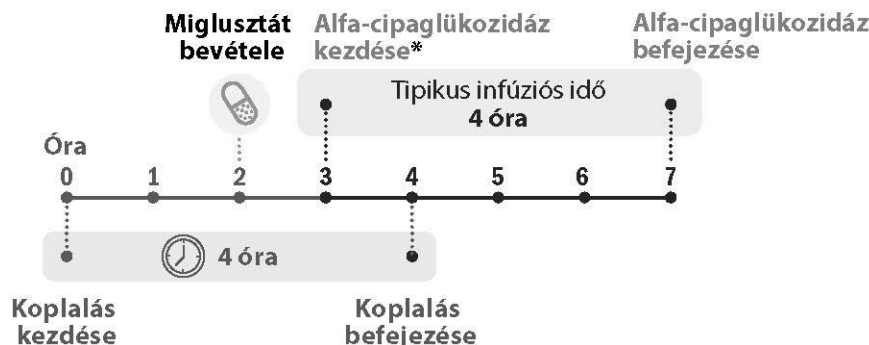
Adagolás

Az ajánlott dózist kéthetente szájon át kell bevenni 18 éves és idősebb felnőtteknek, testtömeg alapján:

- ≥ 50 kg testtömegű betegeknél az ajánlott dózis 260 mg (4 db 65 mg-os kapszula).
- ≥ 40 kg és < 50 kg testtömegű betegek esetében az ajánlott dózis 195 mg (3 db 65 mg-os kapszula).

A 65 mg-os miglusztát kemény kapszulákat körülbelül 1 órával, de nem több mint 3 órával az alfa-cipaglükózidáz infúzió kezdete előtt kell bevenni.

1. ábra: Dózis idővonala



★ A miglusztát 65 mg kemény kapszulát körülbelül 1 órával, de nem több mint 3 órával az alfa-cipaglükozidáz infúzió kezdete előtt kell bevenni.

A beteg kezelésre adott reakcióját rutinszerűen kell értékelni a betegség összes klinikai manifesztációjának átfogó értékelése szerint. Elégtelen válasz vagy tolerálhatatlan biztonságossági kockázat esetén mérlegelni kell a 65 mg-os miglusztát kemény kapszulával kombinált alfa-cipaglükozidáz kezelés alkalmazásának megszakítását. Mindkét gyógyszer alkalmazását folytatni kell vagy abba kell hagyni.

Kihagyott dózis

Ha kimaradt a miglusztát dózis, a kezelést a lehető leghamarabb pótolni kell. Ha nem vette be, ne kezdje el az alfa-cipaglükozidáz infúziót. Az alfa-cipaglükozidáz infúzió a miglusztát bevétele után 1 órával kezdődhet el.

Különleges betegcsoportok

Vese- vagy májkárosodás

A miglusztát és az alfa-cipaglükozidáz terápia biztonságosságát és hatásosságát vese- és/vagy májkárosodásban szenvedő betegeknél nem értékelték. Kéthetente történő alkalmazás esetén a közepesen súlyos vagy súlyos vese- vagy májkárosodás következtében megnövekedett plazmamiglusztát-expozíció várhatóan nem befolyásolja jelentősen az alfa-cipaglükozidáz expozícióját, és várhatóan nem befolyásolja klinikailag jelentős mértékben az alfa-cipaglükozidáz hatásosságát és biztonságosságát. Vese- vagy májkárosodásban szenvedő betegeknél nem szükséges a dózismódosítás.

Idősek

Korlátozott tapasztalat áll rendelkezésre a miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükozidáz terápia alkalmazásáról 65 évesnél idősebbeknél. Idősek esetében nem kell a dózist módosítani.

Gyermekek és serdülők

A miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükozidáz terápia biztonságosságát és hatásosságát 18 évesnél fiatalabb gyermekeknél és serdülőknél még nem igazolták. Nincsenek rendelkezésre álló adatok.

Az alkalmazás módja

A miglusztát szájon át alkalmazandó.

A miglusztát kemény kapszula záró elemmel rendelkezik, amely megelőzi a kapszula héjainak kinyílását. A kapszulát egészben kell lenyelni és éhgyomorra kell bevenni.

A betegeknek a 65 mg-os miglusztát kemény kapszula bevétele előtt 2 órával és azt követően 2 órával koplalniuk kell (lásd 5.2 pont). Ez alatt a 4 órás koplalási időszak alatt víz, zsírimentes (sovány) tehéntej, valamint tejszín, cukrok vagy édesítőszer nélküli tea vagy kávé fogyasztható. A beteg a miglusztát bevétele után 2 órával folytathatja a szokásos étel- és folyadékfogyasztást.

4.3 Ellenjavallatok

A készítmény hatóanyagával vagy a 6.1 pontban felsorolt bármely segédanyagával szembeni túlérzékenység.

Az alfa-cipaglükozidáz ellenjavallata.

4.4 Különleges figyelmeztetések és az alkalmazással kapcsolatos óvintézkedések

A miglusztát alfa-cipaglükozidázzal kombinációban történő alkalmazásakor mellékhatások léphetnek fel (lásd 4.8 pont).

4.5 Gyógyszerkölsönhatások és egyéb interakciók

A miglusztát alkalmazásával kapcsolatban nem végeztek interakciós vizsgálatokat.

Élelmiszerekkel való interakció

A miglusztáról ismert, hogy közvetlen hatással van a bélepithelium fő diszacharidáinak enzimikus működésére. Konkrétan, a miglusztát gátolja a diszacharidákat alfa-glikozid kötésekkel, beleértve a szukrázt, a maltázt és az izomaltázt. A lehetséges kölcsönhatások ereje azonnal befolyásolhatja a szacharóz, a maltóz és az izomaltóz emésztési aktivitását, ami emésztési zavarhoz, a víz ozmotikus beáramlásához, fokozott fermentációhoz és irritáló metabolitok termelődéséhez vezethet. A betegeknek a miglusztát bevétele előtt 2 órával és azt követően 2 órával koplalniuk kell.

4.6 Termékenység, terhesség és szoptatás

Fogamzásgátlás nőknél

A fogamzóképes nőknek megbízható fogamzásgátló módszereket kell alkalmazniuk a miglusztát és az alfa-cipaglükozidáz kombinációjának alkalmazása során, továbbá a kezelés abbahagyása után még 4 hétig (lásd 5.3 pont). A gyógyszer alkalmazása nem javasolt olyan fogamzóképes korú nők esetében, akik nem alkalmaznak hatékony fogamzásgátlást.

Terhesség

Nincsenek klinikai adatok a miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükozidáz alkalmazásáról terhes nőknél. A miglusztát átjut a placentán. Az önmagában alkalmazott miglusztáttal, valamint a kombinált alfa-cipaglükozidázzal végzett állatkísérletek reprodukciós toxicitást mutattak (lásd 5.3 pont). Az alfa-cipaglükozidáz miglusztáttal kombinált alkalmazása nem javasolt terhesség alatt.

Szoptatás

Nem ismert, hogy az alfa-cipaglükozidáz és a miglusztát kiválasztódik-e az anyatejbe (lásd 5.3 pont). A rendelkezésre álló, állatkísérletek során nyert farmakodinámiás / toxikológiai adatok igazolták a miglusztát és az alfa-cipaglükozidáz kiválasztódását az anyatejbe. Az újszülöttekre/csecsemőkre nézve a kockázatot nem lehet kizárni. A miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükozidáz kezelés alkalmazása

előtt el kell dönteni, hogy a szoptatást függesztik fel, vagy megszakítják a kezelést/ tartózkodnak a kezeléstől figyelembe véve a szoptatás előnyét a gyermekre nézve, valamint a terápia előnyét a nőre nézve.

Termékenység

Nincs klinikai adat a miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükózidáz termékenységre gyakorolt hatásáról. Patkányokon végzett preklinikai adatok kimutatták, hogy a miglusztát károsan befolyásolja a spermaparamétereket (motilitás és morfológia), ezáltal csökkenti a termékenységet (lásd 5.3 pont). 7 egészséges felnőtt férfinnál azonban, akik 6 héten át, szájon át naponta kétszer 100 mg miglusztátot kaptak, nem figyeltek meg a spermakonzentrációra, motilitásra vagy morfológiára gyakorolt hatást,

4.7 A készítmény hatásai a gépjárművezetéshez és a gépek kezeléséhez szükséges képességekre

A miglusztát nem, vagy csak elhanyagolható mértékben befolyásolja a gépjárművezetéshez és a gépek kezeléséhez szükséges képességeket.

4.8 Nemkívánatos hatások, mellékhatások

A biztonságossági profil összefoglalása

A leggyakrabban jelentett, csak a 65 mg-os miglusztátnak betudható mellékhatás a székrekedés volt (1,3%).

A mellékhatások táblázatos felsorolása

A mellékhatások értékelése 3 klinikai vizsgálat összesített biztonságossági elemzésével a miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükózidáz terápiában részesülő betegek beszámolója alapján történt. Az expozíció teljes átlagos időtartama 17,2 hónap volt.

A klinikai vizsgálatok során jelentkező mellékhatásokat (1. táblázat) MedDRA szervrendszeri kategóriánként soroljuk fel.

A mellékhatások előfordulási gyakoriságainak meghatározása: nagyon gyakori ($\geq 1/10$); gyakori ($\geq 1/100 - < 1/10$); nem gyakori ($\geq 1/1000 - < 1/100$); ritka ($\geq 1/10\ 000 - < 1/1000$); nagyon ritka ($< 1/10\ 000$); illetve nem ismert (a gyakoriság a rendelkezésre álló adatokból nem állapítható meg).

1. táblázat: A miglusztáttal kezelt alanyokkal végzett klinikai vizsgálatokból származó mellékhatások összefoglalása

Szervrendszeri kategória (SOC)	Gyakoriság	Mellékhatás (előnyben részesített kifejezés)
Immunrendszeri betegségek és tünetek	Nem gyakori	Túlérzékenység
Idegrendszeri betegségek és tünetek	Nagyon gyakori	Fejfájás
	Gyakori	Remegés, ízérzékelési zavar
	Nem gyakori	Egyensúlyzavar, migrén ⁴
Szívbetegségek és a szívvel kapcsolatos tünetek	Gyakori	Tachycardia ⁶
Érbetegségek és tünetek	Nem gyakori	Alacsony vérnyomás, sápadtság
Légzőrendszeri, mellkasi és mediastinalis betegségek és tünetek	Gyakori	Nehézlégzés
	Nem gyakori	Asztma
Emésztőrendszeri betegségek és tünetek	Gyakori	Hasmenés, hányinger, hasi fájdalom ¹ , flatulencia, hasi puffadás, hányás, székrekedés [†]
	Nem gyakori	Hasi diszkomfort [‡] , nyelőcsőgörcs, szájjüregi fájdalom

Szervrendszeri kategória (SOC)	Gyakoriság	Mellékhatás (előnyben részesített kifejezés)
A bőr és a bőr alatti szövet betegségei és tünetei	Gyakori	Urticaria ³ , kiütés ² , pruritus, hyperhidrosis
	Nem gyakori	Bőr elszíneződése
A csont- és izomrendszer, valamint a kötőszövet betegségei és tünetei	Gyakori	Izomgörcsök, myalgia, izomgyengeség
	Nem gyakori	Artralgia, lágyékfájdalom, izomfáradtság, izom- és csontrendszeri merevség
Általános tünetek, az alkalmazás helyén fellépő reakciók	Gyakori	Kimerültség, láz, hidegrázás
	Nem gyakori	Aszténia, arcfájdalom, nyugtalanság [†] , nem szív eredetű mellkasi fájdalom, perifériás duzzanat
Laboratóriumi és egyéb vizsgálatok eredményei	Gyakori	Emelkedett vérnyomás ⁵
	Nem gyakori	Csökkent limfocitaszám, csökkent vérlemezkesszám [†]

† Csak miglusztáttal jelentették

¹ A hasi fájdalom, a felső hasi fájdalom és az alsó hasi fájdalom a hasi fájdalom alatt van csoportosítva.

² A kiütések és erythemás kiütések a kiütések alatt vannak csoportosítva.

³ Az urticaria, urticariás kiütés és mechanikai urticaria az urticaria alatt van csoportosítva.

⁴ A migrén és aurás migrén a migrén alatt van csoportosítva.

⁵ A hipertensio és a vérnyomás-emelkedés a vérnyomás emelkedése alatt van csoportosítva.

⁶ Tachycardia és a sinus tachycardia a tachycardia alatt van csoportosítva.

Feltételezett mellékhatások bejelentése

A gyógyszer engedélyezését követően lényeges a feltételezett mellékhatások bejelentése, mert ez fontos eszköze annak, hogy a gyógyszer előny/kockázat profilját folyamatosan figyelemmel lehessen kísérni. Az egészségügyi szakembereket kérjük, hogy jelentsék be a feltételezett mellékhatásokat a hatóság részére az [V. függelékben](#) található elérhetőségek valamelyikén keresztül.

4.9 Túladagolás

Tünetek

Leukopéniát, granulocitopéniát, neutropéniát, szédülést és paraesztéziát figyeltek meg a miplasztátot 800 mg/nap vagy annál nagyobb dózisban kapó humán immundeficiencia vírusos (HIV) betegeknél.

Kezelés

Túladagolás esetén azonnal szupportív orvosi ellátást kell biztosítani. A teljes vérképet monitorozni kell a fehérvérsejtek számának csökkenése szempontjából.

5. FARMAKOLÓGIAI TULAJDONSÁGOK

5.1 Farmakodinámiás tulajdonságok

Farmakoterápiás csoport: Egyéb tápcsatornát támogató és anyagcserét segítő termékek, különböző tápcsatornát támogató és anyagcserét segítő termékek. ATC-kód: A16AX06

Hatásmechanizmus

A miplasztát az alfa-cipaglükozidáz farmakokinetikai enzimstabilizálója.

A miplasztát szelektíven kötődik a vérben lévő alfa-cipaglükozidázhoz az infúzió során; ezáltal stabilizálja az alfa-cipaglükozidáz konformációját, és minimalizálja az enzimaktivitás megszűnését a keringésben. A lizozómában való szétválással az alfa-cipaglükozidáz és a miplasztát közötti szelektív kötődés átmeneti. A miplasztát önmagában nincs hatással a glikogén csökkenésére.

Gyermekek és serdülők

Az Európai Gyógyszerügynökség a gyermekek esetén egy vagy több korosztálynál halasztást engedélyez az opfolda vizsgálati eredményeinek benyújtási kötelezettségét illetően a II-es típusú glikogéntárolási betegség (Pompe-kór) kezelésében (lásd 4.2 pont, gyermekgyógyászati alkalmazásra vonatkozó információk).

5.2 Farmakokinetikai tulajdonságok

Felszívódás

A miglusztát felszívódási sebessége (t_{max}) körülbelül 2–3 óra volt. A 260 mg-os klinikai dózisznál a plazma miglusztát körülbelül 3000 ng/ml C_{max} -ot és körülbelül 25 000 ng×h/ml $AUC_{0-\infty}$ értéket ért el.

Az élelmiszer hatása

Jelentős élelmiszerhatást figyeltek meg, amely a C_{max} -értéket 36%-kal csökkentette, és körülbelül 2 órával késleltette a felszívódást, lásd 4.2 pont.

Metabolizmus

A miglusztát nagyrészt nem metabolizálódik, a radioaktívan jelölt dózis < 5%-a kerül visszanyerésre glükuronidok formájában.

Elimináció

A terminális eliminációs felezési idő körülbelül 6 óra volt a miglusztát esetében. Az orális clearance körülbelül 10,5 l/h, a terminális fázis eloszlási térfogata pedig körülbelül 90 l volt.

Linearitás

A miglusztát dózisarányos kinetikát mutatott.

Különleges betegcsoportok

Nem, idősök és rasszbéli/etnikai hovatartozás

Összevont populációs farmakokinetikai elemzés alapján a nem, az életkor (18–74 évesek) és a rasszbéli/etnikai hovatartozás nem gyakorolt klinikailag jelentős hatást a miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükozidáz expozícióra.

Májkárosodás

A miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükozidáz terápia biztonságosságát és hatásosságát májkárosodásban szenvedő betegeknél nem értékelték.

Vesekárosodás

A miglusztát $AUC_{0-24 \text{ óra}}$ értéke 21%-kal emelkedett enyhe (kreatinin-clearance [CL_{cr}]: 60–89 ml/perc, a Cockcroft-Gault becslés szerint), 32%-kal emelkedett közepes (CL_{cr} : 30–59 ml/perc), illetve 41%-kal emelkedett súlyos (CL_{cr} : 15–29 ml/perc) vesekárosodásban szenvedő betegeknél, a normál vesefunkciójú betegekhez képest. A végstádiumú vesebetegség hatása a miglusztát farmakokinetikájára nem ismert.

5.3 A preklinikai biztonságossági vizsgálatok eredményei

A hagyományos, farmakológiai biztonságossági, egyszeri és ismételt adagolású dózistoxicitási, genotoxicitási és mutagenitási vizsgálatokból származó nem klinikai jellegű adatok azt igazolták, hogy a készítmény alkalmazásakor humán vonatkozásban különleges kockázat nem várható.

Egerek vastagbelében esetenként karcinómák fordultak elő 2 éven át 210, 420 és 840/500 mg/ttkg/nap dózisú szájon át alkalmazott miglusztát kezelés után. Ezek a dózisok a napi háromszori 200 mg-os humán dózis 8-szorosának, 16-szorosának és 33/19-szeresének felelnek meg. Ezen eredmények relevanciája a miglusztátot szedő embereknél nem ismert a vizsgált, lényegesen alacsonyabb – Pompe-kór kezelésére – kéthetente alkalmazott 195–260 mg-os dózisok esetén.

Terméketlenség

Állatkísérletekben a miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükozidáz terápia nem volt hatással a spermatogenezisre; azonban a miglusztáttal kombinált alfa-cipaglükozidázzal kezelt patkányoknál a spermamotilitás csökkenését figyelték meg, ami úgy tűnt, a miglusztáttal hozható összefüggésbe.

Patkányoknál a miglusztát orálisan, 60 mg/ttkg/nap vagy afeletti dózisokban történő alkalmazása a tubuli seminiferi és a here atrófiáját/degenerációját okozta. A testfelszín összehasonlítások alapján a humán terápiás szisztémás expozíciónál kisebb dózisokat kapó (mg/m²) patkányoknál, akik szájon át 20 mg/ttkg/nap miglusztátot kaptak orális gyomorszondán keresztül 14 nappal a párzás előtt, megváltozott morfológiájú és motilitású hímivarsejtek csökkent spermatogenezisét és csökkent termékenységet figyeltek meg. A csökkent spermatogenezis patkányoknál reverzibilis volt 6 hetes hatóanyag-megvonást követően.

Állatkísérletekből származó toxikológiai és farmakológiai adatok

Egy patkányokon végzett I. szegmensű termékenységi és korai embrionális fejlődési vizsgálatban a nőstény termékenységi komponensében a beültetés előtti veszteséget mind az önállóan alkalmazott miglusztát (60 mg/ttkg) csoportban, mind a kombinált kezelési csoportban (400 mg/ttkg alfa-cipaglükozidáz és 60 mg/ttkg orális miglusztát) megfigyelték, és a miglusztáttal összefüggőnek tekintették.

6. GYÓGYSZERÉSZETI JELLEMZŐK

6.1 Segédanyagok felsorolása

Kapszula tartalma

előszelatinizált keményítő (kukoricakeményítő)
magnézium-sztearát (E470b)
mikrokristályos cellulóz (E460i)
szukralóz (E955)
kolloid szilícium-dioxid

Kapszulahéj

zselatin
titán-dioxid (E171)
fekete vas-oxid (E172)

Ehető nyomtatótinta

fekete vas-oxid (E172)
kálium-hidroxid (E525)
propilén-glikol (E1520)
sellak (E904)
erős ammóniaoldat (E527)

6.2 Inkompatibilitások

Nem értelmezhető.

6.3 Felhasználhatósági időtartam

4 kapszulát tartalmazó üvegek: 2 év
24 kapszulát tartalmazó üvegek: 3 év

6.4 Különleges tárolási előírások

Ez a gyógyszer semmilyen különleges tárolást nem igényel.

6.5 Csomagolás típusa és kiszerelése

40 ml-es nagy sűrűségű polietilén (HDPE) üveg 33 mm-es, fehér, gyermekbiztos polipropilén kupakkal, címkével. Az üveg nyílása egy indukciós fóliabéléssel van lezárva.

4 és 24 kapszulát tartalmazó üvegekben.

Nem feltétlenül mindegyik kiszerelés kerül kereskedelmi forgalomba.

6.6 A megsemmisítésre vonatkozó különleges óvintézkedések

Bármilyen fel nem használt gyógyszer, illetve hulladékanyag megsemmisítését a gyógyszerekre vonatkozó előírások szerint kell végrehajtani.

7. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY JOGOSULTJA

Amicus Therapeutics Europe Limited
Block 1, Blanchardstown Corporate Park
Ballycoolin Road
Blanchardstown, Dublin
D15 AKK1, Írország
e-mail: info@amicusrx.co.uk

8. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY SZÁMA(I)

EU/1/23/1737/001
EU/1/23/1737/002

9. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY ELSŐ KIADÁSÁNAK/MEGÚJÍTÁSÁNAK DÁTUMA

A forgalomba hozatali engedély első kiadásának dátuma: 2023. június 26

10. A SZÖVEG ELLENŐRZÉSÉNEK DÁTUMA

A gyógyszerről részletes információ az Európai Gyógyszerügynökség internetes honlapján <http://www.ema.europa.eu> található.

II. MELLÉKLET

- A. A GYÁRTÁSI TÉTELEK VÉGFELSZABADÍTÁSÁÉRT FELELŐS GYÁRTÓ**
- B. A KIADÁSRA ÉS A FELHASZNÁLÁSRA VONATKOZÓ FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK**
- C. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLYBEN FOGLALT EGYÉB FELTÉTELEK ÉS KÖVETELMÉNYEK**
- D. A GYÓGYSZER BIZTONSÁGOS ÉS HATÉKONY ALKALMAZÁSÁRA VONATKOZÓ FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK**

A. A GYÁRTÁSI TÉTELEK VÉGFELSZABADÍTÁSÁÉRT FELELŐS GYÁRTÓ

A gyártási tételek végfelszabadításáért felelős gyártó neve és címe

Manufacturing Packaging Farmaca (MPF) B.V.
Neptunus 12, Heerenveen, 8448CN, Hollandia

B. A KIADÁSRA ÉS A FELHASZNÁLÁSRA VONATKOZÓ FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK

Korlátozott érvényű orvosi rendelvényhez kötött gyógyszer (lásd I. Melléklet: Alkalmazási előírás, 4.2. pont).

C. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLYBEN FOGLALT EGYÉB FELTÉTELEK ÉS KÖVETELMÉNYEK

- **Időszakos gyógyszerbiztonsági jelentések (Periodic safety update report, PSUR)**

Erre a készítményre a PSUR-okat a 2001/83/EK irányelv 107c. cikkének (7) bekezdésében megállapított és az európai internetes gyógyszerportálon nyilvánosságra hozott uniós referencia időpontok listája (EURD lista), illetve annak bármely későbbi frissített változata szerinti követelményeknek megfelelően kell benyújtani.

A forgalomba hozatali engedély jogosultja erre a készítményre az első PSUR-t az engedélyezést követő 6 hónapon belül köteles benyújtani.

D. A GYÓGYSZER BIZTONSÁGOS ÉS HATÉKONY ALKALMAZÁSÁRA VONATKOZÓ FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK

- **Kockázatkezelési terv**

A forgalomba hozatali engedély jogosultja kötelezi magát, hogy a forgalomba hozatali engedély 1.8.2 moduljában leírt, jóváhagyott kockázatkezelési tervben, illetve annak jóváhagyott frissített verzióiban részletezett, kötelező farmakovigilanciái tevékenységeket és beavatkozásokat elvégzi.

A frissített kockázatkezelési terv benyújtandó a következő esetekben:

- ha az Európai Gyógyszerügynökség ezt indítványozza;
- ha a kockázatkezelési rendszerben változás történik, főként azt követően, hogy olyan új információ érkezik, amely az előny/kockázat profil jelentős változásához vezethet, illetve (a biztonságos gyógyszeralkalmazásra vagy kockázatminimalizálásra irányuló) újabb, meghatározó eredmények születnek.

III. MELLÉKLET
CÍMKESZÖVEG ÉS BETEGTÁJÉKOZTATÓ

A. CÍMKESZÖVEG

A KÜLSŐ CSOMAGOLÁSON FELTÜNTETENDŐ ADATOK

DOBOZ

1. A GYÓGYSZER NEVE

Opfolda 65 mg kemény kapszula
miglusztát

2. HATÓANYAG(OK) MEGNEVEZÉSE

65 mg miglusztátot tartalmaz kemény kapszulánként.

3. SEGÉDANYAGOK FELSOROLÁSA

4. GYÓGYSZERFORMA ÉS TARTALOM

Kemény kapszula

4 kemény kapszula
24 kemény kapszula

5. AZ ALKALMAZÁSSAL KAPCSOLATOS TUDNIVALÓK ÉS AZ ALKALMAZÁS MÓDJA(I)

Alkalmazás előtt olvassa el a mellékelt betegájékoztatót!

Szájon át történő alkalmazásra.

6. KÜLÖN FIGYELMEZTETÉS, MELY SZERINT A GYÓGYSZERT GYERMEKEKTŐL ELZÁRVA KELL TARTANI

A gyógyszer gyermekektől elzárva tartandó!

7. TOVÁBBI FIGYELMEZTETÉS(EK), AMENNYIBEN SZÜKSÉGES

FIGYEELEM: Az Opfolda-t kizárólag alfa-cipaglükozidázzal használja.

8. LEJÁRATI IDŐ

Felh.:

9. KÜLÖNLEGES TÁROLÁSI ELŐÍRÁSOK

10. KÜLÖNLEGES ÓVINTÉZKEDÉSEK A FEL NEM HASZNÁLT GYÓGYSZEREK VAGY AZ ILYEN TERMÉKEKBŐL KELETKEZETT HULLADÉKANYAGOK ÁRTALMATLANNÁ TÉTELÉRE, HA ILYENEKRE SZÜKSÉG VAN

11. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY JOGOSULTJÁNAK NEVE ÉS CÍME

Amicus Therapeutics Europe Limited
Block 1, Blanchardstown Corporate Park,
Ballycoolin Road, Blanchardstown,
Dublin D15 AKK1, Írország

12. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY SZÁMA(I)

EU/1/23/1737/001 4 kemény kapszula
EU/1/23/1737/002 24 kemény kapszula

13. A GYÁRTÁSI TÉTEL SZÁMA

Lot

14. A GYÓGYSZER ÁLTALÁNOS BESOROLÁSA RENDELHETŐSÉG SZEMPONTJÁBÓL

15. AZ ALKALMAZÁSRA VONATKOZÓ UTASÍTÁSOK

16. BRAILLE ÍRÁSSAL FELTÜNTETETT INFORMÁCIÓK

opfolda

17. EGYEDI AZONOSÍTÓ – 2D VONALKÓD

18. EGYEDI AZONOSÍTÓ OLVASHATÓ FORMÁTUMA

PC
SN
NN

A KIS KÖZVETLEN CSOMAGOLÁSI EGYSÉGEKEN MINIMÁLISAN FELTÜNTETENDŐ ADATOK

ÜVEG

1. A GYÓGYSZER NEVE

Opfolda 65 mg kemény kapszula
miglusztát

2. AZ ALKALMAZÁSSAL KAPCSOLATOS TUDNIVALÓK

Használat előtt olvassa el a mellékelt betegtájékoztatót!

Szájon át történő alkalmazásra

3. LEJÁRATI IDŐ

Felh.:

4. A GYÁRTÁSI TÉTEL SZÁMA

Lot

5. A TARTALOM TÖMEGRE, TÉRFOGATRA VAGY EGYSÉGRE VONATKOZTATVA

65 mg miglusztátot tartalmaz kemény kapszulánként.

4 kemény kapszula
24 kemény kapszula

6. EGYÉB INFORMÁCIÓK

FIGYELEM: Az Opfolda-t kizárólag alfa-cipaglükozidázzal használja.

Amicus Therapeutics Europe Limited
Dublin D15 AKK1, Írország

EU/1/23/1737/001 4 kemény kapszula
EU/1/23/1737/002 24 kemény kapszula

B. BETEGTÁJÉKOZTATÓ

Betegtájékoztató: Információk a felhasználó számára

Opfolda 65 mg kemény kapszula

Miglusztát

Mielőtt elkezdi szedni ezt a gyógyszert, olvassa el figyelmesen az alábbi betegtájékoztatót, mert az az Ön számára fontos információkat tartalmaz.

- Tartsa meg a betegtájékoztatót, mert a benne szereplő információkra a későbbiekben is szüksége lehet.
- További kérdéseivel forduljon kezelőorvosához, gyógyszerészéhez vagy a gondozását végző egészségügyi szakemberhez.
- Ezt a gyógyszert az orvos kizárólag Önnek írta fel. Ne adja át a készítményt másnak, mert számára ártalmas lehet még abban az esetben is, ha a betegség tünete az Önéhez hasonlóak.
- Ha Önél bármilyen mellékhatás jelentkezik, tájékoztassa erről kezelőorvosát, gyógyszerészét vagy a gondozását végző egészségügyi szakembert. Ez a betegtájékoztatóban fel nem sorolt bármilyen lehetséges mellékhatásra is vonatkozik. Lásd a 4. pont.

A betegtájékoztató tartalma

1. Milyen típusú gyógyszer az Opfolda és milyen betegségek esetén alkalmazható?
2. Tudnivalók az Opfolda szedése előtt
3. Hogyan kell szedni az Opfoldát?
4. Lehetséges mellékhatások
5. Hogyan kell az Opfoldát tárolni?
6. A csomagolás tartalma és egyéb információk

1. Milyen típusú gyógyszer az Opfolda és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Mi az az Opfolda?

Az Opfolda olyan gyógyszer, amelyet a késői megjelenésű Pompe-kór kezelésére használnak felnőtteknél. Ezen gyógyszer hatóanyaga a miglusztát.

Milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Opfoldát mindig egy másik, „alfa-cipaglükózidáz” nevű gyógyszerrel, egyfajta enzimpótló terápiával (enzyme-replacement therapy, ERT) együtt alkalmazzák. Ezért nagyon fontos, hogy elolvassa az alfa-cipaglükózidáz betegtájékoztatóját is.

Ha bármilyen kérdése van az Ön által szedett gyógyszerekkel kapcsolatban, kérdezze kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan működik az Opfolda?

A Pompe-kórban szenvedőkben a savas alfa-glükózidáz (GAA) enzim szintje alacsony. Ez az enzim segít a glikogén (egyfajta szénhidrát) szintjének szabályozásában a szervezetben.

Pompe-kórban a test izmaiban magas glikogénszint alakul ki. Ez megakadályozza az izmok, például a járást segítő izmok, a légzést segítő tüdő alatti izmok és a szívizom megfelelő működését.

Az Opfolda a kezelés során kötődik az alfa-cipaglükózidázhoz. Ez stabilabbá teszi az alfa-cipaglükózidáz alakját, így könnyebben fel tud szívódni a vérből a Pompe-kór által érintett izomsejtekbe. Amikor a sejtekben van, a gyógyszer úgy hat, mint a GAA, és segíti a glikogén lebontását és a glikogénszint szabályozását.

2. Tudnivalók az Opfolda szedése előtt

Ne használja az Opfoldát

- Ha allergiás a miglusztátra vagy a gyógyszer (6. pontban felsorolt) egyéb összetevőjére

- Ha allergiás az alfa-cipaglükozidázra.

Figyelmeztetések és óvintézkedések

Az Opfolda szedése előtt beszéljen kezelőorvosával, vagy gyógyszerészével vagy a gondozását végző egészségügyi szakemberrel:

Figyeljen oda a súlyos mellékhatásokra

Az Opfoldát alfa-cipaglükozidáz nevű enzimpótló terápiával (ERT) együtt kell alkalmazni, ezért olvassa el az alfa-cipaglükozidáz betegtájékoztatóját is. Ezek a gyógyszerek mellékhatásokat okozhat, amelyekről azonnal be kell számolnia orvosának. Ide tartoznak az allergiás reakciók is. Az allergiás reakciók jeleit a 4. pont „Allergiás reakciók” része tartalmazza. Ezek súlyosak lehetnek, és előfordulhatnak a gyógyszer beadásakor vagy az azt követő órákban.

Azonnal szójon az orvosnak vagy az ápolónak, ha infúzióval kapcsolatos vagy allergiás reakciókat tapasztal, vagy úgy gondolja, hogy ilyen reakciók léphetnek fel Önnél. Tájékoztassa kezelőorvosát vagy ápolóját, ha valaha is volt ilyen reakciója egy másik ERT-vel, mielőtt Opfoldát kapna.

Gyermekek és serdülők

Ezt a gyógyszert nem szabad 18 évesnél fiatalabb betegeknek adni. Ez azért van, mert ebben a korcsoportban az Opfolda és az alfa-cipaglükozidáz együttes hatása nem ismert.

Egyéb gyógyszerek és az Opfolda

Feltétlenül tájékoztassa kezelőorvosát vagy a gondozását végző egészségügyi szakembert a jelenleg vagy nemrégiben alkalmazott, valamint alkalmazni tervezett egyéb gyógyszereiről. Ide tartoznak a vény nélkül kapható és a gyógynövényes készítmények is.

Terhesség és szoptatás

Ha Ön terhes vagy szoptat, illetve ha fennáll Önnél a terhesség lehetősége vagy gyermeket szeretne, a gyógyszer alkalmazása előtt beszéljen kezelőorvosával vagy gyógyszerészével.

Nincs tapasztalat az Opfolda alfa-cipaglükozidázzal történő együttes alkalmazásával kapcsolatban a terhesség alatt. Orvosa meg fogja vitatni Önnel ezen gyógyszerek alkalmazásának kockázatait és előnyeit.

- Ha Ön várandós, ne szedje az Opfoldát, és/vagy ne kapjon alfa-cipaglükozidázt. Feltétlenül azonnal szójon orvosának, ha teherbe esik, ha úgy gondolja, hogy fennállhat Önnél a várandósság lehetősége, vagy ha várandósságot tervez. A születendő gyermekre nézve kockázatok állhatnak fenn.
- Az alfa-cipaglükozidázzal kombinált Opfolda nem adható szoptató nőknek. Döntést kell hozni a kezelés vagy a szoptatás befejezéséről.

Fogamzásgátlás és termékenység

A fogamzóképes női betegeknek ezen gyógyszerek szedése előtt, alatt és a kezelés abbahagyása után még 4 hétig megbízható fogamzásgátló módszereket kell alkalmazniuk.

A készítmény hatásai a gépjárművezetéshez és a gépek kezeléséhez szükséges képességekre

Az Opfolda nem vagy csak elhanyagolható mértékben befolyásolja a gépjárművezetéshez és a gépek kezeléséhez szükséges képességeket. Olvassa el az alfa-cipaglükozidáz betegtájékoztatóját is, mivel annak a gyógyszernek lehetnek rá hatásai.

3. Hogyan kell szedni az Opfoldát?

A gyógyszert mindig a kezelőorvosa által elmondottaknak megfelelően szedje. Amennyiben nem biztos abban, hogyan alkalmazza a gyógyszert, kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Mennyi Opfoldát kell szedni

- Az opfolda (miglusztát) kapszulákat alfa-cipaglükozidázzal kell alkalmazni. Olvassa el az alfa-cipaglükozidáz betegtájékoztatóját is.
- Ha testtömege 50 kg vagy több, az ajánlott adag 4 kapszula, amely 65 mg miglusztátot tartalmaz kapszulánként.
- Ha testtömege 40 kg és 50 kg között van, az ajánlott adag 3 kapszula.

Milyen gyakran kell szedni az Opfoldát

- Kéthetente egyszer kapja az Opfoldát és az alfa-cipaglükozidázt. Mindkettőt ugyanazon a napon kell alkalmazni.
- Mindkét gyógyszert pontosan az orvos által elmondottaknak megfelelően szedje, lásd az 1. ábrát. Erre azért van szükség, hogy a kezelés a lehető legjobban működjön.

Az opfolda és az ételek

Az Opfoldát éhgyomorra, szájon át kell bevennie.

- A gyógyszer bevétele előtt és után 2-2 órán át koplalnia kell.
- Ebben a 4 órás koplalási időszakban vizet, zsírmentes (sovány) tehéntejet, és teát vagy kávét fogyaszthat. Ne használjon tejszínt, teljes/félsovány tehéntejet, tejtermékeket, cukrot vagy édesítőszerket. Zsírmentes (sovány) tehéntejet használhat a teájához vagy kávéjához.
- Két órával az Opfolda bevétele után folytathatja a szokásos ételfogyasztást és folyadékfogyasztást

1. ábra: Dózis idővonala



★ A miglusztát 65 mg kemény kapszulát körülbelül 1 órával, de nem több mint 3 órával az alfa-cipaglükozidáz infúzió kezdete előtt kell bevenni.

Váltás más enzimpótló terápiáról (ERT)

Ha jelenleg másik ERT-vel kezelik:

- Orvosa megmondja majd, hogy mikor kell leállítani a másik ERT-t az Opfolda elkezdése előtt.
- Szóljon orvosának, amikor befejezte az utolsó adagot.

Ha az előírtnál több Opfoldát vett be

Azonnal szóljon orvosának, vagy menjen kórházba, ha véletlenül több kapszulát vett be, mint amennyit felírtak Önnek. A gyógyszer alkalmazásakor nagyobb lehet a mellékhatások kialakulásának kockázata (lásd 4. pont). Orvosa megfelelő szupportív ellátást fog nyújtani.

Ha elfelejtette bevenni az Opfoldát

Ha kihagy egy adag Opfoldát, kérjük, beszéljen orvosával vagy a gondozását végző egészségügyi szakemberrel. Azonnal forduljon orvosához vagy a gondozását végző egészségügyi szakemberhez, hogy a miglusztát és az alfa-cipaglükozidáz kombinációját a lehető leghamarabb átütemezzék.

Ha abbahagyja az Opfolda szedését

Beszéljen orvosával, ha abba szeretné hagyni az Opfolda-kezelést. Betegsége tünetei rosszabbodhatnak, ha abbahagyja a kezelést.

4. Lehetséges mellékhatások

Mint minden gyógyszer, így ez a gyógyszer is okozhat mellékhatásokat, amelyek azonban nem mindenkinél jelentkeznek.

Az opfoldát alfa-cipaglükozidázzal együtt kell alkalmazni és ezen gyógyszerek bármelyikénél előfordulhatnak mellékhatások.

A következő mellékhatások előfordulhatnak:

Allergiás reakciók

Az allergiás reakciók közé tartozhatnak olyan tünetek, mint a bárhol a testen jelentkező bőrkiütés, puffadt szemek, hosszan tartó légzési nehézség, köhögés, az ajkak, a nyelv vagy a torok duzzanata, viszkető bőr és csalánkiütés.

Azonnal szójjon az orvosnak vagy a gondozását végző egészségügyi szakembernek, ha infúzióval kapcsolatos vagy allergiás reakciókat tapasztal. Tájékoztassa kezelőorvosát vagy a gondozását végző egészségügyi szakembert, ha bármikor ilyen reakciót tapasztalt.

Nagyon gyakori (10 betegből több mint 1 beteget érinthet)

- Fejfájás

Gyakori (10 betegből legfeljebb 1 beteget érinthet)

- Nehézlégzés (légszomj)
- Az arc, a nyak vagy a mellkas felső részének hirtelen kivörösödése
- Vérnyomás-emelkedés
- Gyomorfájdalom
- Puffadás
- Bélgáz távozása
- Laza, folyós széklet
- Székletürítési nehézség
- Hányás
- Kimerültség
- Hányinger
- Láz
- Nagyon viszkető csalánkiütés (urtikária)
- Viszkető kiütés, vakarózás (pruritis)
- Hidegrázás
- Izomgörcsök, izomfájdalom, izomgyengeség
- A test egy vagy több részének akaratlan remegése
- Fokozott verejtékezés
- Fájdalom
- Megváltozott ízérzékelés

Nem gyakori (100 betegből legfeljebb 1 beteget érinthet):

- Asztma
- Allergiás reakciók
- Kellemetlen érzés a gyomorban
- Emésztési panaszok
- Torokfájás vagy torokirritáció
- A torok fájdalmas és rendellenes összehúzódásai
- Nyugtalanág érzése, általános lassúság érzése
- Zaklatottság érzése
- A kéz, lábfej, boka, láb duzzanata
- Állandó fáradtságérzet
- Szokatlanul sápadt bőr
- Alacsony vérnyomás
- A vérlemezék vagy a fehérvérsejtek egy típusának csökkenése – vizsgálatokban láthatóan
- Ízületi fájdalom
- Fájdalom a csípő és a bordák közötti területen
- Izomfáradtság
- Fokozott izommerevség
- Álmoság érzése
- Fájdalom a fej egy vagy két oldalán, lüktető fájdalom, aura, szemfájdalom, fényérzékenység (migrén)
- Bőr elszíneződése
- Egyensúlyi rendellenesség

Mellékhatások bejelentése

Ha Önél bármilyen mellékhatás jelentkezik, tájékoztassa kezelőorvosát, gyógyszerészét vagy a gondozását végző egészségügyi szakembert. Ez a beteg tájékoztatóban fel nem sorolt bármilyen lehetséges mellékhatásra is vonatkozik. A mellékhatásokat közvetlenül a hatóság részére is bejelentheti az [V. függelékben](#) található elérhetőségeken keresztül. A mellékhatások bejelentésével Ön is hozzájárulhat ahhoz, hogy minél több információ álljon rendelkezésre a gyógyszer biztonságos alkalmazásával kapcsolatban.

5. Hogyan kell az Opfoldát tárolni?

A gyógyszer gyermekektől elzárva tartandó!

Az üvegen és a dobozon feltüntetett lejárati idő („EXP”) után ne alkalmazza ezt a gyógyszert. A lejárati idő az adott hónap utolsó napjára vonatkozik.

Ez a gyógyszer nem igényel különleges tárolást.

Semmilyen gyógyszert ne dobjon a szennyvízbe vagy a háztartási hulladékba. Kérdezze meg gyógyszerészét, hogy mit tegyen a már nem használt gyógyszereivel. Ezek az intézkedések elősegítik a környezet védelmét.

6. A csomagolás tartalma és egyéb információk

Mit tartalmaz az Opfolda?

- A készítmény hatóanyaga a miglusztát. 65 mg miglusztátot tartalmaz kemény kapszulánként.
- Egyéb összetevők:

Kapszula tartalma

előzselatinizált keményítő (kukoricakeményítő)
magnézium-sztearát (E470b)
mikrokristályos cellulóz (E460i)
szukralóz (E955)
kolloid szilícium-dioxid

Kapszulahéj

zselatin
titán-dioxid (E171)
fekete vas-oxid (E172)

Ehető nyomtató tinta

fekete vas-oxid (E172)
kálium-hidroxid (E525)
propilén-glikol (E1520)
erős ammóniaoldat (E527)
sellak (E904)

Milyen az Opfolda külleme és mit tartalmaz a csomagolás?

4 és 24 kapszulát tartalmazó üvegekben.
Nem feltétlenül mindegyik kiszerelés kerül kereskedelmi forgalomba.

2-es méretű kemény kapszula szürke, átlátszatlan kupakkal és fehér, átlátszatlan testtel, amelyen fekete „AT2221” felirat látható, és fehér vagy törtefehér port tartalmaz.

A forgalomba hozatali engedély jogosultja

Amicus Therapeutics Europe Limited
Block 1, Blanchardstown Corporate Park
Ballycoolin Road
Blanchardstown, Dublin
D15 AKK1, Írország
Tel: +353 (0) 1 588 0836
Fax: +353 (0) 1 588 6851
e-mail: info@amicusrx.co.uk

Gyártó

Manufacturing Packaging Farmaca (MPF) B.V.
Neptunus 12, Heerenveen, 8448CN, Hollandia

A készítményhez kapcsolódó további kérdéseivel forduljon a forgalomba hozatali engedély jogosultjának helyi képviselőjéhez:

België/Belgique/Belgien

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tél/Tel: (+32) 0800 89172
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Lietuva

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+370) 8800 33167
El. paštas: MedInfo@amicusrx.com

България

Amicus Therapeutics Europe Limited
Тел.: (+359) 00800 111 3214
имейл: MedInfo@amicusrx.com

Česká republika

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+420) 800 142 207
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Danmark

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tlf: (+45) 80 253 262
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Deutschland

Amicus Therapeutics GmbH
Tel: (+49) 0800 000 2038
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Eesti

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+372) 800 0111 911
e-post: MedInfo@amicusrx.com

Ελλάδα

Amicus Therapeutics Europe Limited
Τηλ: (+30) 00800 126 169
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

España

Amicus Therapeutics S.L.U.
Tel: (+34) 900 941 616
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

France Amicus Therapeutics SAS

Tél: (+33) 0 800 906 788
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Hrvatska

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+358) 0800 222 452
e-pošta: MedInfo@amicusrx.com

Ireland

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+353) 1800 936 230
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Luxembourg/Luxemburg

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tél/Tel: (+352) 800 27003
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Magyarország

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+36) 06 800 21202
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Malta

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+356) 800 62674
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Nederland

Amicus Therapeutics BV
Tel: (+31) 0800 022 8399
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Norge

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tlf: (+47) 800 13837
e-post: MedInfo@amicusrx.com

Österreich

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+43) 0800 909 639
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Polska

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+48) 0080 012 15475
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Portugal Amicus Therapeutics Europe Limited

Tel: (+351) 800 812 531
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

România

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+40) 0808 034 288
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Slovenija

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel.: (+386) 0800 81794
e-pošta: MedInfo@amicusrx.com

Ísland

Amicus Therapeutics Europe Limited
Sími: (+354) 800 7634
Netfang: MedInfo@amicusrx.com

Italia

Amicus Therapeutics S.r.l.
Tel: (+39) 800 795 572
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Κύπρος

Amicus Therapeutics Europe Limited
Τηλ: (+357) 800 97595
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Latvija

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+371) 800 05391
e-pasts: MedInfo@amicusrx.com

Slovenská republika

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tel: (+421) 0800 002 437
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

Suomi/Finland

Amicus Therapeutics Europe Limited
Puh/Tel: (+358) 0800 917 780
sähköposti/e-mail: MedInfo@amicusrx.com

Sverige

Amicus Therapeutics Europe Limited
Tfn: (+46) 020 795 493
e-post: MedInfo@amicusrx.com

United Kingdom (Northern Ireland)

Amicus Therapeutics UK Limited
Tel: (+44) 08 0823 46864
E-mail: MedInfo@amicusrx.com

A betegtájékoztató legutóbbi felülvizsgálatának dátuma:

Egyéb információforrások

A gyógyszerről részletes információ az Európai Gyógyszerügynökség internetes honlapján <http://www.ema.europa.eu> található. Ugyanitt más, a ritka betegségekre és kezelésükre vonatkozó információt tartalmazó honlapok címei is megtalálhatók.