



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustat*)

Sintesi di Opfolda e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Opfolda e per cosa si usa?

Opfolda è un medicinale usato nel trattamento di adulti affetti dalla malattia di Pompe a esordio tardivo [carezza di alfa-glucosidasi acida (GAA)], una patologia ereditaria in cui i pazienti hanno difficoltà respiratorie e debolezza muscolare. Viene usato in associazione con un altro medicinale, cipaglucoasidasi alfa.

Opfolda è un "medicinale ibrido". Questo significa che è simile a un "medicinale di riferimento" che contiene lo stesso principio attivo, ma è disponibile in capsule di dosaggio diverso. Il medicinale di riferimento per Opfolda è Zavesca.

Opfolda contiene il principio attivo miglustat.

Come si usa Opfolda?

Le capsule di Opfolda sono assunte per via orale all'incirca 1 ora, ma non più di 3 ore, prima di un'infusione (flebo) di cipaglucoasidasi alfa.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere supervisionato da un medico esperto nel trattamento di pazienti con malattia di Pompe o affezioni analoghe.

Per maggiori informazioni sull'uso di Opfolda, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Opfolda?

Durante il trattamento il principio attivo di Opfolda, miglustat, si lega a cipaglucoasidasi alfa rendendola più stabile, in modo da facilitarne l'assorbimento dal sangue nelle cellule muscolari interessate dalla malattia di 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



Quali benefici di Opfolda sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale condotto su 125 adulti affetti dalla malattia di Pompe ha confrontato gli effetti di Opfolda più cipaglicosidasi alfa con alglucosidasi alfa (un altro medicinale per la malattia di Pompe) più placebo (un trattamento fittizio).

Lo studio ha mostrato che, dopo un anno di trattamento, la distanza che i pazienti riuscivano a percorrere camminando per sei minuti era migliorata di circa 20 metri nei pazienti trattati con Opfolda più cipaglicosidasi alfa, rispetto a un miglioramento di circa 8 metri nei pazienti trattati con alglucosidasi alfa e placebo. Questa differenza è stata considerata clinicamente rilevante.

Quali sono i rischi associati a Opfolda?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Opfolda, vedere il foglio illustrativo.

L'effetto indesiderato più comune di Opfolda (che può riguardare fino a 1 persona su 10) è la stipsi.

Opfolda non deve essere usato da persone che non possono assumere cipaglicosidasi alfa.

Perché Opfolda è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha concluso che gli effetti di Opfolda in associazione con cipaglicosidasi alfa sono clinicamente rilevanti e che il loro utilizzo offre un'opzione terapeutica alternativa per i pazienti adulti affetti dalla malattia di Pompe a esordio tardivo. Il profilo di sicurezza della combinazione è considerato accettabile e comparabile a quello di alglucosidasi alfa.

Pertanto, l'Agenzia ha deciso che i benefici di Opfolda sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Opfolda?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Opfolda sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Opfolda sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Opfolda sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Opfolda

Ulteriori informazioni su Opfolda sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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