



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustatas*)

Opfolda apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Opfolda ir kam jis vartojamas?

Opfolda – tai vaistas, kuriuo gydomi suaugusieji, sergantys vėlyvosios stadijos Pompe liga (rūgštinės alfa-gliukozidazės (GAA) trūkumu); tai paveldimas sutrikimas, dėl kurio pacientams pasireiškia kvėpavimo sunkumai ir raumenų silpnumas. Jis vartojamas kartu su kitu vaistu cipagliukozidaze alfa.

Opfolda yra hibridinis vaistas. Tai reiškia, kad Opfolda yra panašus į referencinį vaistą, kurio sudėtyje yra tos pačios veikliosios medžiagos, bet jis tiekiamas skirtingo stiprumo kapsulių forma. Referencinis Opfolda vaistas yra Zavesca.

Opfolda sudėtyje yra veikliosios medžiagos miglustato.

Kaip naudoti Opfolda?

Opfolda kapsulės geriamos likus maždaug 1 valandai, bet ne daugiau kaip 3 valandoms iki cipagliukozidazės alfa infuzijos (sulašinamas365lašinimo).

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi prižiūrėti gydytojas, turintis Pompe liga ar panašiomis ligomis sergančių pacientų gydymo patirties.

Daugiau informacijos apie Opfolda vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Opfolda?

Opfolda veiklioji medžiaga miglustatas gydymo metu prisijungia prie cipagliukozidazės alfa. Dėl to cipagliukozidazė alfa tampa stabilesnė, todėl Pompe ligos paveiktos raumenų ląstelės gali ir toliau pasisavinti šią medžiagą iš kraujo.

Kokia Opfolda nauda nustatyta tyrimų metu?

Viename pagrindiniame tyrime su 125 Pompe liga sergančiais suaugusiaisiais Opfolda ir cipagliukozidazės alfa poveikis buvo lyginamas su agliukozidazės alfa (kito vaisto nuo Pompe ligos) ir placebo (preparato be veikliosios medžiagos).

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



Tyrimas parodė, kad po vieno gydymo metų atstumas, kurį pacientai galėjo nueiti per šešias minutes, pailgėjo maždaug 20 metrų pacientams, gydytiems Opfolda ir cipagliukozidaze alfa, o pacientams, vartojusiems algliukozidazę alfa ir placebo, atstumas pailgėjo maždaug 8 metrais. Šis skirtumas laikomas kliniškai reikšmingu.

Kokia rizika susijusi su Opfolda vartojimu?

Išsamų visų Opfolda šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Opfolda šalutinis poveikis (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra vidurių užkietėjimas.

Opfolda negalima vartoti žmonėms, kurie negali vartoti cipagliukozidazės alfa.

Kodėl Opfolda buvo registruotas ES?

Europos vaistų agentūra priėjo prie išvados, kad Opfolda ir cipagliukozidazės alfa poveikis yra kliniškai reikšmingas ir kad jų naudojimas yra alternatyvi gydymo galimybė suaugusiems pacientams, sergantiems vėlyvosios stadijos Pompe liga. Šio vaistų derinio saugumo charakteristikos laikomos priimtiniomis ir panašiomis į algliukozidazės alfa saugumo charakteristikas.

Todėl Agentūra nusprendė, kad Opfolda nauda yra didesnė už keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Opfolda vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Opfolda vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Opfolda vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Opfolda šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Opfolda

Daugiau informacijos apie Opfolda rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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