



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustat*)

Przegląd wiedzy na temat leku Opfolda i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Opfolda i w jakim celu się go stosuje

Opfolda jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych z późną postacią choroby Pompego (niedobór kwaśnej alfa-glukozydazy [GAA]), chorobą dziedziczną objawiającą się trudnościami w oddychaniu i osłabieniem mięśni. Lek stosuje się w skojarzeniu z innym lekiem, cypaglukozydazą alfa.

Lek Opfolda jest lekiem hybrydowym. Oznacza to, że jest podobny do leku referencyjnego zawierającego tę samą substancję czynną, lecz jest dostępny w kapsułkach o innej mocy. Lekiem referencyjnym dla leku Opfolda jest Zavesca.

Substancją czynną zawartą w leku Opfolda jest miglustat.

Jak stosować lek Opfolda

Kapsułki leku Opfolda przyjmuje się doustnie około 1 godzinę, ale nie więcej niż 3 godziny przed wlewem dożylnym (kroplówką) cypaglukozydazy alfa.

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien nadzorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu pacjentów z chorobą Pompego lub podobnymi chorobami.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Opfolda znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Opfolda

Substancja czynna leku Opfolda, miglustat, przyłącza się w trakcie działania do cypaglukozydazy alfa. Sprawia to, że cypaglukozydaza alfa jest bardziej stabilna, dzięki czemu może być nieprzerwanie wchłaniana z krwi przez komórki mięśniowe dotknięte chorobą Pompego.

Korzyści ze stosowania leku Opfolda wykazane w badaniach

W jednym badaniu głównym z udziałem 125 osób dorosłych z chorobą Pompego porównano skutki działania leku Opfolda w skojarzeniu z cypaglukozydazą alfa i alglukozydazy alfa (innego leku przeciwko chorobie Pompego) w skojarzeniu z placebo (leczeniem pozorowanym).

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



W badaniu wykazano, że po roku leczenia odległość, jaką pacjenci byli w stanie przejść w ciągu sześciu minut, uległa poprawie o około 20 metrów u pacjentów otrzymujących lek Opfolda w skojarzeniu z cypaglukozydazą alfa, w porównaniu z poprawą o około 8 metrów u pacjentów przyjmujących alglukozydazę alfa w skojarzeniu z placebo. Różnicę tę uznano za istotną klinicznie.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Opfolda

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Opfolda znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku Opfolda (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to zaparcia.

Leku Opfolda nie wolno stosować u osób, które nie mogą przyjmować cypaglukozydazy alfa.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Opfolda w UE

Europejska Agencja Leków uznała, że działanie leku Opfolda w skojarzeniu z cypaglukozydazą alfa ma znaczenie kliniczne i że ich stosowanie stanowi alternatywną opcję leczenia dla dorosłych pacjentów z późną postacią choroby Pompego. Profil bezpieczeństwa skojarzenia tych leków uznaje się za dopuszczalny i porównywalny z profilem bezpieczeństwa skojarzenia z alglukozydazą alfa.

Dlatego też Agencja uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Opfolda przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Opfolda

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Opfolda w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Opfolda są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Opfolda są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Opfolda

Dalsze informacje dotyczące leku Opfolda znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.