



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustat*)

Um resumo sobre Opfolda e por que está autorizado na UE

O que é Opfolda e para que é utilizado?

Opfolda é um medicamento utilizado no tratamento de adultos com doença de Pompe de início tardio (deficiência de glicosidase ácida [GAA]), uma doença hereditária na qual os doentes têm dificuldades respiratórias e fraqueza muscular. É utilizado em associação com outro medicamento, a cipaglicosidase alfa.

Opfolda é um medicamento híbrido, o que significa que é similar a um medicamento de referência que contém a mesma substância ativa, mas está disponível na forma de cápsulas de dosagem diferente. O medicamento de referência do Opfolda é o Zavesca.

Opfolda contém a substância ativa miglustat.

Como se utiliza Opfolda?

As cápsulas de Opfolda são tomadas por via oral aproximadamente 1 hora, mas não mais de 3 horas antes da perfusão (administração gota a gota) de cipaglicosidase alfa.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com doença de Pompe ou doenças similares.

Para mais informações sobre a utilização de Opfolda, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Opfolda?

A substância ativa de Opfolda, o miglustato, liga-se à cipaglicosidase alfa durante o tratamento. O que torna a cipaglicosidase alfa mais estável, pelo que pode continuar a ser absorvida a partir do sangue pelas células musculares afetadas pela doença de 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



Quais os benefícios demonstrados por Opfolda durante os estudos?

Um estudo principal em 125 adultos com doença de Pompe comparou os efeitos de Opfolda em associação com cipaglicosidase alfa com alglucosidase alfa (outro medicamento para a doença de Pompe) com placebo (um tratamento simulado).

O estudo demonstrou que, após um ano de tratamento, a distância que os doentes puderam percorrer em seis minutos melhorou em cerca de 20 metros nos doentes tratados com Opfolda e cipaglicosidase alfa, em comparação com uma melhoria de cerca de 8 metros nos doentes com alglucosidase alfa e placebo. Esta diferença foi considerada clinicamente relevante.

Quais são os riscos associados a Opfolda?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Opfolda, consulte o Folheto Informativo.

O efeito secundário mais frequente associado a Opfolda (que pode afetar 1 em cada 10 pessoas) é obstipação (prisão de ventre).

Opfolda é contra-indicado em pessoas que não possam tomar cipaglicosidase alfa.

Por que está Opfolda autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os efeitos de Opfolda em associação com a cipaglicosidase alfa são clinicamente relevantes e que o seu uso oferece uma opção de tratamento alternativa para doentes adultos com doença de Pompe de início tardio. O perfil de segurança da combinação é considerado aceitável e comparável ao da alglucosidase alfa.

A Agência concluiu, por conseguinte, que os benefícios de Opfolda são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Opfolda?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Opfolda.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Opfolda são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Opfolda são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Opfolda

Mais informações sobre Opfolda podem ser encontradas no sítio Web da Agência:

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