



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Opfolda (*miglustat*)

Sammanfattning av Opfolda och varför det är godkänt inom EU

Vad är Opfolda och vad används det för?

Opfolda är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med sent debuterad Pompes sjukdom (brist på surt α -glukosidas [GAA]), en ärftlig sjukdom där patienterna har andningssvårigheter och muskelsvaghet. Det ges i kombination med ett annat läkemedel, cipaglukosidas alfa.

Opfolda är ett "hybridläkemedel". Det innebär att det liknar ett referensläkemedel som innehåller samma aktiva substans, men finns som kapslar av annan styrka. Referensläkemedlet för Opfolda är Zavesca.

Opfolda innehåller den aktiva substansen miglustat.

Hur används Opfolda?

Opfoldakapslar tas genom munnen cirka 1 timme men inte mer än 3 timmar före en infusion av cipaglukosidas alfa (dropp).

Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med Pompes sjukdom eller liknande sjukdomar.

För mer information om hur du använder Opfolda, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Opfolda?

Den aktiva substansen i Opfolda, miglustat, binder till cipaglukosidas alfa under behandlingen. Detta gör cipaglukosidas alfa mer stabilt, så att det kan fortsätta att absorberas från blodet av de muskelceller som påverkas av Pompe sjukdom.

Vilka fördelar med Opfolda har visats i studierna?

I en huvudstudie på 125 vuxna med Pompes sjukdom jämfördes effekterna av Opfolda plus cipaglukosidas alfa med alglukosidas alfa (ett annat läkemedel mot Pompes sjukdom) plus placebo (overksam behandling).

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



Studien visade att avståndet som patienterna kunde gå på sex minuter efter ett års behandling förbättrades med omkring 20 meter hos patienter som behandlades med Opfolda plus cipaglukosidas alfa, jämfört med en förbättring på omkring 8 meter hos patienter som fick alglukosidas alfa och placebo. Denna skillnad ansågs vara kliniskt relevant.

Vilka är riskerna med Opfolda?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Opfolda finns i bipacksedeln.

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Opfolda (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är förstoppning.

Opfolda får inte ges till personer som inte kan ta cipaglukosidas alfa.

Varför är Opfolda godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att effekterna av Opfolda i kombination med cipaglukosidas alfa är kliniskt relevanta och att de erbjuder en alternativ behandlingsmöjlighet för vuxna patienter med sent debuterad Pompes sjukdom. Säkerhetsprofilen för kombinationen anses godtagbar och jämförbar med den för alglukosidas alfa.

EMA fann därför att fördelarna med Opfolda är större än riskerna och att Opfolda kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Opfolda?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Opfolda har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Opfolda kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Opfolda utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Opfolda

Mer information om Opfolda finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda.