



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Opfolda (*miglustat*)

Información general sobre Opfolda y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Opfolda y para qué se utiliza?

Opfolda es un medicamento que se utiliza en el tratamiento de adultos con enfermedad de Pompe de aparición tardía (deficiencia de ácido alfa-glucosidasa [GAA]), un trastorno hereditario en el que los pacientes tienen dificultades respiratorias y debilidad muscular. Se utiliza en combinación con otro medicamento, cipaglucoSIDasa alfa.

Opfolda es un «medicamento híbrido». lo que significa que es similar a un «medicamento de referencia» que contiene el mismo principio activo, pero se presenta en cápsulas de una concentración diferente. El medicamento de referencia de Opfolda es Zavesca.

Opfolda contiene el principio activo miglustat.

### ¿Cómo se usa Opfolda?

Las cápsulas de Opfolda se toman por vía oral aproximadamente 1 hora, pero no más de 3 horas antes de la perfusión (goteo) de cipaglucoSIDasa alfa.

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe ser supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con la enfermedad de Pompe u otras enfermedades similares.

Si desea más información sobre el uso de Opfolda, lea el prospecto o contacte a su médico o farmacéutico.

### ¿Cómo actúa Opfolda?

El principio activo de Opfolda, miglustat, se une a la cipaglucoSIDasa alfa durante el tratamiento. Esto hace que la cipaglucoSIDasa alfa sea más estable, de modo que pueda seguir siendo absorbida de la sangre por las células musculares afectadas por la enfermedad 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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Opfolda en los estudios realizados?**

En un estudio principal en el que participaron 125 adultos con enfermedad de Pompe se compararon los efectos de Opfolda más cipaglicosidasa alfa con alglucosidasa alfa (otro medicamento para la enfermedad de Pompe) más un placebo (un tratamiento ficticio).

El estudio demostró que, después de un año de tratamiento, la distancia que los pacientes podían recorrer en seis minutos mejoró en unos 20 metros en los pacientes tratados con Opfolda más cipaglicosidasa alfa, en comparación con una mejora de unos 8 metros en los pacientes tratados con alglucosidasa alfa y placebo. Esta diferencia se consideró clínicamente relevante.

## **¿Cuáles son los riesgos asociados a Opfolda?**

La lista completa de efectos adversos y restricciones comunicados de Opfolda se puede consultar en el prospecto.

El efecto adverso más frecuente de Opfolda (que puede afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) es el estreñimiento.

Opfolda no debe ser utilizado por personas que no puedan tomar cipaglicosidasa alfa.

## **¿Por qué se ha autorizado Opfolda en la UE?**

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los efectos de Opfolda en combinación con cipaglicosidasa alfa son clínicamente relevantes y que su uso ofrece una opción de tratamiento alternativa para los pacientes adultos con enfermedad de Pompe de inicio tardío. El perfil de seguridad de la combinación se considera aceptable y comparable al de la alglucosidasa alfa.

Por consiguiente, la Agencia ha decidido que los beneficios de Opfolda son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Opfolda?**

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Opfolda se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Opfolda se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Opfolda se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## **Otra información sobre Opfolda**

Puede encontrar información adicional sobre Opfolda en la página web de la Agencia:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/opfolda).