

Information für Patientinnen und Patienten

Lesen Sie diese Packungsbeilage sorgfältig, bevor Sie das Arzneimittel einnehmen bzw. anwenden. Dieses Arzneimittel ist Ihnen persönlich verschrieben worden und Sie dürfen es nicht an andere Personen weitergeben. Auch wenn diese die gleichen Krankheitssymptome haben wie Sie, könnte Ihnen das Arzneimittel schaden. Bewahren Sie die Packungsbeilage auf, Sie wollen sie vielleicht später nochmals lesen.

Opfolda®

Was ist Opfolda und wann wird es angewendet?

Was ist Opfolda?

Opfolda ist ein Arzneimittel, das bei Erwachsenen zur Behandlung von Morbus Pompe der späten Verlaufsform angewendet wird. Es enthält den Wirkstoff Miglustat.

Wofür wird es angewendet?

Opfolda wird immer zusammen mit einem anderen Arzneimittel mit der Bezeichnung Cipaglucosidase alfa, einer Enzyersatztherapie (ERT), angewendet. Es ist daher sehr wichtig, dass Sie auch die Packungsbeilage von Cipaglucosidase alfa lesen.

Wenn Sie Fragen zu Ihren Arzneimitteln haben, wenden Sie sich bitte an Ihren Arzt oder Apotheker, bzw. Ihre Ärztin oder Apothekerin.

Wie Opfolda wirkt

Menschen mit Morbus Pompe haben zu wenig von dem Enzym saure alpha-Glucosidase (GAA). Dieses Enzym ist an der Regulierung der Menge an Glykogen (eine Art von Kohlenhydraten) im Körper beteiligt.

Bei Morbus Pompe sammeln sich in der Körpermuskulatur grosse Glykogenmengen an. Dadurch können Muskeln, z. B. die Muskeln, die Sie zum Gehen brauchen, die Muskeln unter der Lunge, die Sie zum Atmen brauchen, und der Herzmuskel, nicht mehr richtig arbeiten.

Opfolda bindet während der Behandlung an Cipaglucosidase alfa. Dadurch wird die Form von Cipaglucosidase alfa stabiler, sodass es von den Muskelzellen, die von Morbus Pompe betroffen sind, leichter aus dem Blut aufgenommen werden kann. In den Zellen wirkt Cipaglucosidase alfa wie GAA, es unterstützt den Abbau von Glykogen und die Regulierung der Glykogenmengen.

Auf Verschreibung des Arztes oder der Ärztin.

Wann darf Opfolda nicht eingenommen / angewendet werden?

Opfolda nicht verwenden

- Wenn Sie allergisch gegen Miglustat oder einen der sonstigen Hilfsstoffe dieses Arzneimittels sind (aufgelistet im Abschnitt „Was ist in Opfolda enthalten?“).
- Wenn Sie allergisch gegen Cipaglucosidase alfa sind.

Wann ist bei der Einnahme / Anwendung von Opfolda Vorsicht geboten?

Sprechen Sie mit Ihrem Arzt, Apotheker bzw. Ihrer Ärztin, Apothekerin oder dem medizinischen Fachpersonal, bevor Sie Opfolda einnehmen.



Achten Sie auf schwerwiegende Nebenwirkungen

Opfolda wird zusammen mit Cipaglucosidase alfa, einer Enzyersatztherapie (ERT) angewendet, daher müssen Sie auch die Packungsbeilage von Cipaglucosidase alfa lesen. Diese Arzneimittel können Nebenwirkungen verursachen, die Sie Ihrem Arzt bzw. Ihrer Ärztin unverzüglich mitteilen müssen. Dazu gehören auch allergische Reaktionen. Anzeichen allergischer Reaktionen sind in Abschnitt «Welche Nebenwirkungen kann Opfolda haben?» aufgeführt. Diese können schwerwiegend sein und während der Verabreichung des Arzneimittels oder in den Stunden danach auftreten.

Sprechen Sie sofort mit einem Arzt bzw. einer Ärztin oder dem medizinischen Fachpersonal, wenn sich bei Ihnen infusionsbezogene oder allergische Reaktionen zeigen oder Sie diese vermuten. Informieren Sie Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin oder das medizinische Fachpersonal, wenn Sie jemals eine solche Reaktion bei einer anderen ERT hatten, bevor Sie Opfolda erhalten.

Fahrtüchtigkeit und Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen

Opfolda hat keinen oder einen zu vernachlässigenden Einfluss auf die Fahrtüchtigkeit oder die Fähigkeit, Maschinen zu bedienen. Sie sollten auch die Packungsbeilage von Cipaglucosidase alfa lesen, da dieses Arzneimittel Auswirkungen haben kann.

Kinder und Jugendliche

Die Anwendung und Sicherheit von Opfolda in Kombination mit Cipaglucosidase alfa bei Kindern und Jugendlichen unter 18 Jahren ist bisher nicht geprüft worden. Dieses Arzneimittel sollte daher in diesen Altersgruppen nicht angewendet werden.

Informieren Sie Ihren Arzt oder Apotheker bzw. Ihre Ärztin oder Apothekerin, wenn Sie

- an anderen Krankheiten leiden,
- Allergien haben oder
- andere Arzneimittel (auch selbst gekaufte!) einnehmen.

Darf Opfolda während einer Schwangerschaft oder in der Stillzeit eingenommen / angewendet werden?

Empfängnisverhütung bei Frauen und Fertilität

Patientinnen im gebärfähigen Alter müssen während der Anwendung und für 4 Wochen nach Beendigung der Anwendung der beiden Arzneimittel eine zuverlässige Verhütungsmethode anwenden.

Schwangerschaft und Stillzeit

Wenn Sie schwanger sind oder stillen, oder wenn Sie vermuten, schwanger zu sein, oder beabsichtigen, schwanger zu werden, wenden Sie dieses Arzneimittel nicht an, sondern fragen Sie sofort Ihren Arzt oder Apotheker bzw. Ihre Ärztin oder Apothekerin um Rat.

Es liegen keine Erfahrungen mit der Anwendung von Opfolda in Kombination mit Cipaglucosidase alfa während der Schwangerschaft vor. Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin wird mit Ihnen die Risiken und Vorteile der Einnahme dieser Arzneimittel besprechen.

- Sie dürfen Opfolda nicht einnehmen und Cipaglucosidase alfa nicht erhalten, wenn Sie schwanger sind. Sprechen Sie unbedingt sofort mit Ihrem Arzt, wenn Sie schwanger werden, vermuten, schwanger zu



sein, oder beabsichtigen, schwanger zu werden. Es können Risiken für das ungeborene Kind bestehen.

- Opfolda in Kombination mit Cipaglucosidase alfa darf nicht an stillende Frauen verabreicht werden. Es muss entschieden werden, ob die Behandlung oder das Stillen abgebrochen werden soll.

Wie verwenden Sie Opfolda?

Nehmen Sie dieses Arzneimittel immer genau nach Absprache mit Ihrem Arzt bzw. Ihrer Ärztin ein. Fragen Sie bei Ihrem Arzt oder Apotheker bzw. Ihrer Ärztin oder Apothekerin nach, wenn Sie sich nicht sicher sind, wie das Arzneimittel anzuwenden ist.

Wie viel Opfolda nehmen Sie ein?

- Opfolda (Miglustat) Kapseln müssen in Kombination mit Cipaglucosidase alfa angewendet werden. Siehe auch die Packungsbeilage von Cipaglucosidase alfa.
- Wenn Sie 50 kg oder mehr wiegen, beträgt die empfohlene Dosis 4 Kapseln zu je 65 mg Miglustat.
- Wiegen Sie zwischen 40 kg und 50 kg, beträgt die empfohlene Dosis 3 Kapseln.

Wie oft nehmen Sie Opfolda ein?

- Sie erhalten Opfolda und Cipaglucosidase alfa einmal alle zwei Wochen. Beide werden am selben Tag angewendet.
- Wenden Sie beide Arzneimittel immer genau nach den Anweisungen Ihres Arztes bzw. Ihrer Ärztin an, siehe Abbildung 1. Das ist wichtig, damit Ihre Behandlung möglichst gut wirkt.

Einnahme von Opfolda zusammen mit Nahrungsmitteln

Sie müssen Opfolda auf nüchternen Magen einnehmen.

- Fasten Sie 2 Stunden vor und 2 Stunden nach der Einnahme dieses Arzneimittels.
- Während dieser 4-stündigen Fastenzeit dürfen Sie Wasser, fettfreie (entrahmte) Kuhmilch und Tee oder Kaffee trinken. Verwenden Sie keinen Rahm, Vollmilch / teilentrahmte Kuhmilch, pflanzliche Milchalternativen, Zucker oder Süssungsmittel. Sie können fettfreie Kuhmilch (Magermilch) zu Ihrem Tee oder Kaffee trinken.
- Zwei Stunden nach Einnahme von Opfolda können Sie wieder normal essen und trinken.

Abbildung 1. Verabreichungszeitplan

* Opfolda (Miglustat 65 mg Hartkapseln) ist etwa 1 Stunde, aber höchstens 3 Stunden vor Beginn der Cipaglucosidase-alfa-Infusion einzunehmen.

Umstellung von einer anderen Enzyzersatztherapie (ERT)

Wenn Sie derzeit eine andere ERT erhalten:

- Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin wird Ihnen sagen, wann Sie die andere ERT absetzen müssen, bevor Sie mit Opfolda beginnen.
- Teilen Sie Ihrem Arzt bzw. Ihrer Ärztin mit, wann Sie Ihre letzte Dosis erhalten haben.

Wenn Sie eine grössere Menge von Opfolda eingenommen haben, als Sie sollten

Informieren Sie sofort Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin oder gehen Sie ins Krankenhaus, wenn Sie versehentlich mehr Kapseln eingenommen haben, als Ihnen verschrieben wurden. Eventuell besteht bei Ihnen ein erhöhtes Risiko für das Auftreten von Nebenwirkungen dieses Arzneimittels (siehe Abschnitt „Welche



Nebenwirkungen kann Opfolda haben?“). Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin wird für eine geeignete unterstützende Behandlung sorgen.

Wenn Sie die Einnahme von Opfolda vergessen haben

Wenn Sie eine Dosis von Opfolda vergessen haben, sprechen Sie bitte mit Ihrem Arzt bzw. Ihrer Ärztin oder dem medizinischen Fachpersonal. Wenden Sie sich umgehend an Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin oder das medizinische Fachpersonal, um so bald wie möglich einen neuen Termin für Miglustat in Kombination mit Cipaglucoxidase alfa zu vereinbaren.

Wenn Sie die Einnahme von Opfolda abbrechen

Sprechen Sie mit Ihrem Arzt bzw. Ihrer Ärztin, wenn Sie die Behandlung mit Opfolda beenden möchten. Die Symptome Ihrer Krankheit können sich verschlimmern, wenn Sie die Behandlung beenden.

Ändern Sie nicht von sich aus die verschriebene Dosierung. Wenn Sie glauben, das Arzneimittel wirke zu schwach oder zu stark, so sprechen Sie mit Ihrem Arzt oder Apotheker bzw. mit Ihrer Ärztin oder Apothekerin.

Welche Nebenwirkungen kann Opfolda haben?

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

Opfolda wird zusammen mit Cipaglucoxidase alfa angewendet und bei beiden Arzneimitteln können Nebenwirkungen auftreten.

Die folgenden Nebenwirkungen können auftreten:

Allergische Reaktionen

Bei allergischen Reaktionen können Symptome wie Ausschlag irgendwo am Körper, geschwollene Augen, anhaltende Atembeschwerden, Husten, Schwellung der Lippen, Zunge oder Rachen, juckende Haut und Quaddeln auftreten.

Sprechen Sie sofort mit einem Arzt bzw. einer Ärztin oder dem medizinischen Fachpersonal, wenn sich bei Ihnen allergische Reaktionen zeigen oder Sie dieses vermuten. Sprechen Sie mit Ihrem Arzt bzw. Ihrer Ärztin oder dem medizinischen Fachpersonal, wenn Sie jemals eine solche Reaktion hatten.

Sehr häufig (betrifft mehr als einen von 10 Behandelten)

- Kopfschmerzen

Häufig (betrifft 1 bis 10 von 100 Behandelten)

- Schwerwiegende lebensbedrohliche allergische Reaktion (anaphylaktische Reaktion)
- Geschmacksstörung
- Schwindelgefühl
- Zittern
- Schläfrigkeit
- Empfindungen wie Taubheit oder Kribbeln (Parästhesie)
- Schneller Herzschlag



- Hautrötung
- Bluthochdruck
- Niedriger Blutdruck
- Kurzatmigkeit
- Husten
- Durchfall
- Übelkeit
- Bauchschmerzen
- Darmwinde
- Blähungen
- Erbrechen
- Verstopfung
- Juckende Quaddeln
- Juckende Haut
- Ausschlag
- Übermässiges Schwitzen
- Schmerzvolle Muskelkrämpfe
- Muskelschmerzen
- Muskelschwäche
- Gelenkschmerzen
- Müdigkeit
- Fieber
- Schüttelfrost
- Unangenehmes Gefühl in der Brust
- Schwellung in der Körperregion, in der die Nadel eingeführt wurde
- Schmerz
- Schwellung der Hände, Füße, Knöchel, Beine

Gelegentlich (betrifft 1 bis 10 von 1000 Behandelten)

- Allergische Reaktion
- Gleichgewichtsstörung
- Brennendes Gefühl
- Migräne
- Gefühl der Beinahe-Ohnmacht
- Ungewöhnliche Blässe der Haut
- Asthma
- Giemen
- Beschwerden in Mund und Rachen
- Geschwollener Rachen
- Flaues Gefühl im Magen
- Verdauungsstörung
- Schmerzen oder schmerzhafte Verkrampfungen in der Speiseröhre
- Schmerzen oder Beschwerden im Mund



- Geschwollene Zunge
- Hautverfärbung
- Schwellung der Haut
- Schmerzen im Bereich zwischen Hüfte und Rippen
- Muskelermüdung
- Muskelsteifigkeit
- Schwächegefühl
- Schmerzen in der Wange, an Zahnfleisch, Lippen, Kinn
- Schmerzen in der Körperregion, in der die Nadel eingeführt wurde
- Allgemeines Unwohlsein
- Gefühl der Zerrissenheit
- Brustschmerz
- Gesichtsschwellung
- Veränderungen der Körpertemperatur
- Kratzer an oder Schädigung der Haut
- Verringerung der Blutplättchen oder einer Art von weissen Blutkörperchen – in Untersuchungen nachgewiesen

Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt, Apotheker oder Ihre Ärztin, Apothekerin. Dies gilt insbesondere auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind.

Was ist ferner zu beachten?

Haltbarkeit

Das Arzneimittel darf nur bis zu dem auf der Flasche und dem Umkarton mit „EXP“ bezeichneten Datum verwendet werden. Das Verfallsdatum bezieht sich auf den letzten Tag des angegebenen Monats.

Lagerungshinweis

Nicht über 30°C lagern.

Ausser Reichweite von Kindern aufbewahren.

Weitere Hinweise

Entsorgen Sie Arzneimittel nicht im Abwasser oder Haushaltsabfall. Fragen Sie Ihren Apotheker bzw. Ihre Apothekerin, wie das Arzneimittel zu entsorgen ist, wenn Sie es nicht mehr verwenden. Sie tragen damit zum Schutz der Umwelt bei.

Weitere Auskünfte erteilt Ihnen Ihr Arzt, Apotheker bzw. Ihre Ärztin, Apothekerin. Diese Personen verfügen über die ausführliche Fachinformation.

Was ist in Opfolda enthalten?

Hartkapsel der Grösse 2 mit einer grauen, opaken Kappe und einem weissen, opaken Körper, mit dem schwarzen Aufdruck „AT2221“, die weisses bis cremefarbenes Pulver enthält.

Wirkstoffe

Der Wirkstoff ist Miglustat. Jede Hartkapsel enthält 65 mg Miglustat.



Hilfsstoffe

Kapselinhalt: Vorverkleisterte Maisstärke, Magnesiumstearat (E470b), mikrokristalline Cellulose (E460i), Sucralose (E955), hochdisperses Siliciumdioxid.

Kapselhülle: Gelatine, Titandioxid (E171), schwarzes Eisenoxid (E172).

Drucktinte: schwarzes Eisenoxid (E172), Kaliumhydroxid (E525), Propylenglycol (E1520), konzentrierte Ammoniak-Lösung (E527), Schellack (E 904).

Zulassungsnummer

67806 (Swissmedic)

Wo erhalten Sie Opfolda? Welche Packungen sind erhältlich?

In Apotheken nur gegen ärztliche Verschreibung.

Flaschen mit 4 und 24 Kapseln.

Zulassungsinhaberin

Amicus Therapeutics Switzerland GmbH

Seefeldstrasse 69

CH-8008 Zürich

Schweiz

Diese Packungsbeilage wurde im Mai 2025 letztmals durch die Arzneimittelbehörde (Swissmedic) geprüft.

