

Information destinée aux patients

Veuillez lire attentivement cette notice avant de commencer à prendre ce médicament. Ce médicament vous a été personnellement prescrit. Ne le donnez pas à d'autres personnes. Il pourrait leur être nocif, même si les signes de leur maladie sont identiques aux vôtres. Gardez cette notice. Vous pourriez avoir besoin de la relire.

Opfolda®

Qu'est-ce que l'Opfolda et quand doit-il être utilisé ?

Qu'est-ce qu'Opfolda ?

Opfolda est un médicament utilisé dans le traitement de la forme tardive de la maladie de Pompe chez l'adulte. Il contient le principe actif miglustat.

Dans quel cas est-il utilisé

Opfolda est toujours utilisé avec un autre médicament appelé « cipaglucohydrolase alfa », une thérapie enzymatique substitutive (TES). Il est donc très important que vous lisiez également la notice de la cipaglucohydrolase alfa.

Si vous avez d'autres questions sur ce médicament, interrogez votre médecin ou votre pharmacien/pharmacienne.

Comment agit Opfolda

Chez les patients atteints de la maladie de Pompe, les niveaux de l'enzyme alpha-glucosidase acide (GAA) sont faibles. Cette enzyme aide à contrôler les niveaux de glycogène (un type de glucides) dans l'organisme.

Dans la maladie de Pompe, des taux élevés de glycogène s'accumulent dans les muscles du corps. Cette accumulation empêche certains muscles de fonctionner correctement : il s'agit par exemple de ceux qui vous aident à marcher, des muscles situés sous les poumons qui vous aident à respirer et du muscle cardiaque.

Opfolda se lie à la cipaglucohydrolase alfa pendant le traitement. Cela rend la forme de la cipaglucohydrolase alfa plus stable, de sorte qu'elle peut être plus facilement absorbée à partir du sang par les cellules musculaires affectées par la maladie de Pompe. Lorsqu'elle se trouve dans les cellules, la cipaglucohydrolase alfa agit de la même façon que la GAA pour aider à décomposer le glycogène et à contrôler son taux.

Soumis à prescription médicale.

Quand Opfolda ne doit-il pas être pris/utilisé ?

Ne prenez jamais Opfolda

- Si vous êtes allergique au miglustat ou à l'un des autres composants de ce médicament (répertoriés dans la rubrique « Que contient Opfolda ? »).
- Si vous êtes allergique à la cipaglucohydrolase alfa.

Quelles sont les précautions à observer lors de la prise/de l'utilisation d'Opfolda ?

Adressez-vous à votre médecin, pharmacien/pharmacienne ou infirmier/ère avant de prendre Opfolda.



Faites attention aux effets indésirables graves

Opfolda étant utilisé en association avec la cipaglucohydrolase alfa, une thérapie enzymatique substitutive (TES), vous devez également lire la notice de la cipaglucohydrolase alfa. Ces médicaments peuvent provoquer certains effets indésirables que vous devez immédiatement signaler à votre médecin. Ces effets comprennent les réactions allergiques. Les signes de réactions allergiques sont répertoriés à la rubrique « Quels effets indésirables Opfolda peut-il provoquer ? ». Celles-ci peuvent être sévères et peuvent survenir lorsque vous recevez le médicament ou dans les heures qui suivent.

Informez immédiatement un médecin ou un(e) infirmier/ère si vous présentez des réactions à la perfusion ou des réactions allergiques, ou si vous pensez que vous pourriez en présenter. Informez votre médecin ou infirmier/infirmière si vous avez déjà eu de telles réactions avec une autre TES avant de recevoir Opfolda.

Conduite de véhicules et utilisation de machines

Opfolda n'a aucun effet ou un effet négligeable sur l'aptitude à conduire des véhicules et à utiliser des machines. Vous devez également lire la notice de la cipaglucohydrolase alfa, car ce médicament peut avoir des effets.

Enfants et adolescents

L'utilisation et la sécurité d'Opfolda en combinaison avec la cipaglucohydrolase alfa chez les enfants et les adolescents de moins de 18 ans n'ont pas encore été établies. Ce médicament ne doit donc pas être utilisé dans ces tranches d'âge.

Informez votre médecin ou votre pharmacien/pharmacienne si vous

- souffrez d'autres maladies,
- avez des allergies ou
- prenez déjà d'autres médicaments (même en automédication !).

Opfolda peut-il être pris/utilisé pendant la grossesse ou l'allaitement ?

Contraception chez les femmes et fertilité

Les patientes en âge de procréer doivent utiliser des méthodes contraceptives fiables pendant le traitement et pendant 4 semaines après l'arrêt des deux médicaments.

Grossesse et allaitement

Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, demandez immédiatement conseil à votre médecin ou pharmacien avant de prendre ce médicament.

Il n'y a pas d'expérience avec l'utilisation d'Opfolda en association avec la cipaglucohydrolase alfa pendant la grossesse.

- Vous ne devrez pas prendre Opfolda et/ou recevoir de la cipaglucohydrolase alfa si vous êtes enceinte. N'oubliez pas d'informer immédiatement votre médecin si vous débutez une grossesse, si vous pensez être enceinte ou si vous prévoyez de débiter une grossesse. Il peut y avoir des risques pour l'enfant à naître.
- Opfolda en association avec la cipaglucohydrolase alfa ne doit pas être administré aux femmes qui allaitent. Une décision devra être prise soit d'arrêter le traitement, soit d'arrêter l'allaitement.

Comment utiliser Opfolda ?



Veillez à toujours prendre ce médicament en suivant exactement les indications de votre médecin. Vérifiez auprès de votre médecin ou pharmacien/pharmacienne en cas de doute sur la manière d'utiliser ce médicament.

Quelle quantité d'Opfolda prendre ?

- Opfolda (miglustat) gélules doit être utilisé avec la cipaglucoSIDase alfa. Voir également la notice de la cipaglucoSIDase alfa.
- Si vous pesez 50 kg ou plus, la dose recommandée est de 4 gélules contenant chacune 65 mg de miglustat.
- Si vous pesez entre 40 kg et 50 kg, la dose recommandée est de 3 gélules.

À quelle fréquence prendre Opfolda ?

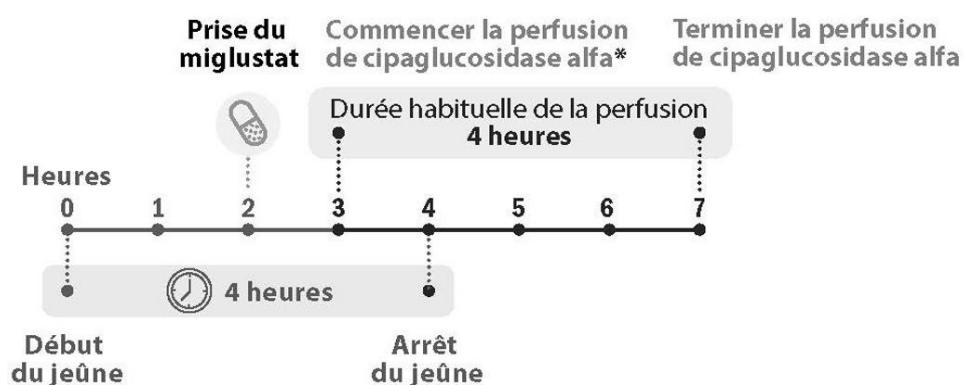
- Vous recevrez Opfolda et la cipaglucoSIDase alfa une fois toutes les deux semaines. Les deux médicaments sont utilisés le même jour.
- Prenez les deux médicaments en suivant exactement les instructions de votre médecin, voir figure 1, afin que votre traitement soit aussi efficace que possible.

Opfolda avec des aliments

Vous devez prendre Opfolda par voie orale à jeun.

- Jeûnez pendant 2 heures avant et 2 heures après la prise de ce médicament.
- Pendant cette période de jeûne de 4 heures, il est possible de consommer de l'eau, du lait de vache sans gras (écrémé), du thé ou du café. Ne consommez pas de crème, de lait de vache entier/demi-écrémé, de laits végétaux, de sucre ou d'édulcorants. Vous pouvez ajouter du lait de vache sans gras (écrémé) à votre thé ou café.
- Deux heures après la prise d'Opfolda, vous pouvez recommencer à manger et à boire normalement.

Figure 1. Calendrier de dosage



* Opfolda (miglustat 65 mg, gélules) doit être pris environ 1 heure avant le début de la perfusion de cipaglucoSIDase alfa, mais pas plus de 3 heures avant.



Passage d'une thérapie enzymatique substitutive (TES) à une autre

Si vous êtes actuellement traité(e) par un autre TES :

- Votre médecin vous dira quand arrêter l'autre TES avant de commencer à prendre Opfolda.
- Avertissez votre médecin lorsque vous avez terminé votre dernière dose.

Si vous avez pris plus d'Opfolda que vous n'auriez dû

Informez immédiatement votre médecin ou rendez-vous à l'hôpital si vous avez accidentellement pris plus de gélules que prescrit. Vous pourriez présenter un risque accru d'effets indésirables avec ce médicament (voir rubrique « Quels effets secondaires Opfolda peut-il provoquer ? »). Votre médecin vous fournira des soins de soutien appropriés.

Si vous oubliez de prendre Opfolda

Si vous oubliez de prendre une dose d'Opfolda, veuillez en parler à votre médecin ou à votre infirmier/ère. Contactez immédiatement votre médecin ou votre infirmier/ère pour reprogrammer la prise de miglustat en association avec la cipaglucohydrolase alfa dès que possible.

Si vous arrêtez de prendre Opfolda

Parlez à votre médecin si vous souhaitez arrêter le traitement par Opfolda. Les symptômes de votre maladie peuvent s'aggraver si vous arrêtez le traitement.

Ne déviez pas de la posologie prescrite. Si vous pensez que l'effet du médicament est trop faible ou trop fort, parlez-en à votre médecin ou à votre pharmacien/pharmacienne.

Quels effets secondaires Opfolda peut-il provoquer ?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Opfolda étant utilisé en association avec la cipaglucohydrolase alfa, des effets indésirables peuvent être causés par l'un ou l'autre de ces médicaments.

Les effets indésirables suivants peuvent survenir :

Réactions allergiques

Les réactions allergiques peuvent inclure des symptômes tels que : éruptions cutanées à tout endroit du corps, gonflement des yeux, difficultés respiratoires prolongées, toux, gonflement des lèvres, de la langue ou de la gorge, démangeaisons cutanées et urticaire.

Informez immédiatement un médecin ou un(e) infirmier/ère si vous présentez des réactions allergiques ou pensez que vous pourriez en présenter. Informez votre médecin ou infirmier/ère si vous avez déjà présenté de telles réactions.

Très fréquent (touche plus d'un patient sur 10)

- Maux de tête

Fréquent (touche 1 à 10 patients sur 100)

- Réaction allergique grave mettant en danger la vie (réaction anaphylactique)
- Trouble du goût



- Sensation de vertige
- Tremblement
- Se sentir somnolent
- Sensation d'engourdissement, de picotements, de fourmillements (paresthésie)
- Battement de cœur rapide
- Rougeur de la peau
- Hypertension artérielle
- Tension artérielle basse
- Essoufflement
- Toux
- Diarrhée
- Nausées
- Douleurs d'estomac
- Gaz intestinaux
- Ballonnements
- Vomissements
- Constipation
- Urticaire
- Abrasion cutanée
- Rougeur
- Sudation excessive
- Contractions musculaires douloureuses
- Douleurs musculaires
- Faiblesse musculaire
- Douleurs articulaires
- Fatigue
- Fièvre
- Frissons
- Sensation d'inconfort dans la poitrine
- Gonflement ou douleur dans la zone du corps où l'aiguille a été insérée
- Douleurs
- Gonflement des mains, des pieds, des chevilles, des jambes

Peu fréquent (touche 1 à 10 patients sur 1 000)

- Réactions allergiques
- Manque d'équilibre ou de maintien de l'équilibre
- Sensation de brûlure
- Migraine
- Sensation de quasi-évanouissement
- Pâleur inhabituelle de la peau
- Asthme
- Respiration sifflante
- Gêne dans la bouche et la gorge
- Gorge enflée
- Maux d'estomac
- Indigestion
- Douleur ou contractions douloureuses dans l'œsophage
- Douleur ou inconfort buccal
- Langue gonflée
- Altération de la couleur de la peau
- Gonflement de la peau



- Douleur dans la zone entre la hanche et les côtes
- Fatigue musculaire
- Rigidité musculaire
- Faiblesse
- Douleurs au niveau de la joue, des gencives, des lèvres et du menton
- Douleur dans la zone du corps où l'aiguille a été insérée
- Sensation générale de malaise
- Sensation de confusion
- Douleur dans la poitrine
- Visage enflé
- Variations de la température corporelle
- Égratignures ou lésions cutanées
- Diminution du nombre de plaquettes ou d'un type de globules blancs ; observée dans les analyses

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin ou votre pharmacien/pharmacienne. Ceci s'applique en particulier à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans cette notice.

À quoi faut-il encore faire attention ?

N'utilisez pas ce médicament après la date de péremption indiquée sur le flacon et la boîte après les lettres « EXP ». La date de péremption fait référence au dernier jour du mois.

Précautions de conservation

Ne pas conserver à des températures supérieures à 30°C.

Tenir hors de la portée des enfants.

Informations supplémentaires

Ne jetez aucun médicament au tout-à-l'égout ou avec les ordures ménagères. Demandez à votre pharmacien/pharmacienne d'éliminer les médicaments que vous n'utilisez plus. Ces mesures contribueront à protéger l'environnement.

Votre médecin ou pharmacien peut vous fournir plus d'informations. Ces professionnels possèdent les informations complètes destinées aux professionnels de santé.

Que contient Opfolda ?

Gélule de taille 2 avec capuchon opaque gris et corps opaque blanc, avec "AT2221" imprimé en noir sur le corps, contenant de la poudre blanche à blanc cassé.

Principes actifs

Le principe actif est le miglustat. Chaque gélule contient 65 mg de miglustat.

Excipients

Contenu de la gélule : amidon de maïs pré-gélatinisé, stéarate de magnésium (E470b), cellulose microcristalline (E460i), sucralose (E955), dioxyde de silicium colloïdal

Enveloppe de la gélule : gélatine, dioxyde de titane (E171), oxyde de fer noir (E172)

Encre d'impression : oxyde de fer noir (E172), hydroxyde de potassium (E525), propylène glycol (E1520), solution d'ammoniaque forte (E527), laque (E904)



Numéro d'autorisation

67806 (Swissmedic)

Où obtenez-vous Opfolda ? Quels sont les emballages à disposition sur le marché ?

En pharmacie, uniquement sur présentation d'une ordonnance médicale.

Flacons de 4 et 24 gélules.

Titulaire de l'autorisation

Amicus Therapeutics Switzerland GmbH

Seefeldstrasse 69

CH-8008 Zurich

Suisse

Cette notice d'emballage a été vérifiée pour la dernière fois en mai 2025 par l'autorité de contrôle des médicaments (Swissmedic).

