

Informazione destinata ai pazienti

Legga attentamente questo foglio prima di prendere questo medicinale. Questo medicinale è stato prescritto appositamente per lei. Non lo dia ad altre persone, anche se i sintomi della malattia sono uguali ai suoi, perché potrebbe essere pericoloso. Conservi questo foglio. Potrebbe aver bisogno di leggerlo di nuovo.

Opfolda®

Che cos'è Opfolda e quando si usa?

Cos'è Opfolda

Opfolda è un medicinale usato nel trattamento della malattia di Pompe a esordio tardivo negli adulti. Questo medicinale contiene il principio attivo "miglustat".

A cosa serve

Opfolda viene sempre usato con un altro medicinale chiamato "cipaglicosidasi alfa", un tipo di terapia enzimatica sostitutiva (enzyme replacement therapy, ERT). Di conseguenza, è molto importante leggere anche il foglio illustrativo della cipaglicosidasi alfa.

Per qualsiasi dubbio sui medicinali, si rivolga al medico o al farmacista.

Come agisce Opfolda

Le persone affette dalla malattia di Pompe hanno bassi livelli dell'enzima alfa-glucosidasi acida (GAA). Questo enzima aiuta a controllare i livelli di glicogeno (un tipo di carboidrato) nel corpo.

Nella malattia di Pompe si accumulano elevate quantità di glicogeno nei muscoli del corpo. Questo impedisce ai muscoli, come quelli delle gambe che permettono di camminare, quelli presenti sotto i polmoni che aiutano a respirare e il muscolo cardiaco, di funzionare correttamente.

Durante il trattamento Opfolda si lega alla cipaglicosidasi alfa rendendone più stabile la conformazione, in modo da facilitarne l'assorbimento dal sangue dalle cellule muscolari colpite dalla malattia di Pompe.

Quando entra nelle cellule, la cipaglicosidasi alfa agisce come la GAA, aiutando a scomporre il glicogeno e a controllarne i suoi livelli.

Soggetto a prescrizione medica.

Quando non si può assumere/usare Opfolda?

Non usi Opfolda

- In caso di allergia a miglustat o ad uno qualsiasi degli altri componenti di questo medicinale (elencati al paragrafo "Cosa è incluso in Opfolda?").
- In caso di allergia alla cipaglicosidasi alfa.

Quando è richiesta prudenza nella somministrazione/nell'uso di Opfolda?

Si rivolga al medico, al farmacista o all'infermiere prima di prendere Opfolda.

Attenzione agli effetti indesiderati gravi

Opfolda viene usato insieme alla cipaglicosidasi alfa, un tipo di terapia enzimatica sostitutiva (ERT), pertanto deve leggere anche il foglio illustrativo della cipaglicosidasi alfa. Questi medicinali possono



causare effetti indesiderati dei quali dovrà informare immediatamente il medico. Questi includono le reazioni allergiche. I segni delle reazioni allergiche sono elencati al paragrafo “Quali possono essere gli effetti indesiderati di Opfolda?”. Queste possono essere gravi e possono manifestarsi quando viene somministrato il medicinale o durante le ore successive.

Informi immediatamente il medico o l'infermiere se si verificano reazioni allergiche o correlate all'infusione o se ritiene che si possano manifestare. Informi il medico o l'infermiere prima di assumere Opfolda se ha già presentato una reazione di questo tipo con un altro ERT.

Guida di veicoli e utilizzo di macchinari

Opfolda non altera o altera in modo trascurabile la capacità di guidare veicoli e di usare macchinari. Deve leggere anche il foglio illustrativo della cipaglucoSidasi alfa, dato che questo medicinale potrebbe influire su tale capacità.

Bambini e adolescenti

Per i bambini e gli adolescenti di età inferiore a 18 anni, l'uso e la sicurezza di Opfolda in associazione con cipaglucoSidasi alfa non sono stati ancora stabiliti. Pertanto, questo medicinale non deve essere utilizzato per questi gruppi di età.

Informi il medico o il farmacista se

- soffre di altre malattie,
- ha allergie o
- utilizza altri medicinali (compresi quelli da banco).

Si può assumere/usare Opfolda durante la gravidanza o l'allattamento?

Contraccezione femminile e fertilità

Le pazienti di sesso femminile in età fertile devono utilizzare metodi contraccettivi affidabili durante l'uso e per 4 settimane dopo l'interruzione di entrambi i medicinali.

Gravidanza e allattamento al seno

Se è in corso una gravidanza, se sospetta o sta pianificando una gravidanza o se sta allattando con latte materno chiedi immediatamente consiglio al medico o al farmacista prima di usare questo medicinale.

Non vi è alcuna esperienza riguardo all'uso di Opfolda in associazione con cipaglucoSidasi alfa durante la gravidanza.

- Non deve assumere Opfolda in associazione con cipaglucoSidasi alfa se è in stato di gravidanza. Si assicuri di informare immediatamente il medico se è in gravidanza, sospetta di essere in gravidanza o sta pianificando una gravidanza. Potrebbero esserci rischi per il feto.
- Opfolda in associazione con cipaglucoSidasi alfa non deve essere somministrato a donne che allattino al seno. Si dovrà decidere se interrompere il trattamento o interrompere l'allattamento.

Come usare Opfolda?

Prenda questo medicinale seguendo sempre esattamente le istruzioni del medico. Se ha dubbi sulla modalità di assunzione del medicinale consulti il medico o il farmacista.



Quanto Opfolda assumere?

- Le capsule di Opfolda (miglustat) devono essere utilizzate con la cipaglucosidasi alfa. Veda anche il foglio illustrativo della cipaglucosidasi alfa.
- Se il suo peso è pari o superiore a 50 kg, la dose raccomandata è di 4 capsule, ciascuna contenente 65 mg di miglustat.
- Se il suo peso è tra 40 e 50 kg, la dose raccomandata è di 3 capsule.

Con quale frequenza assumere Opfolda?

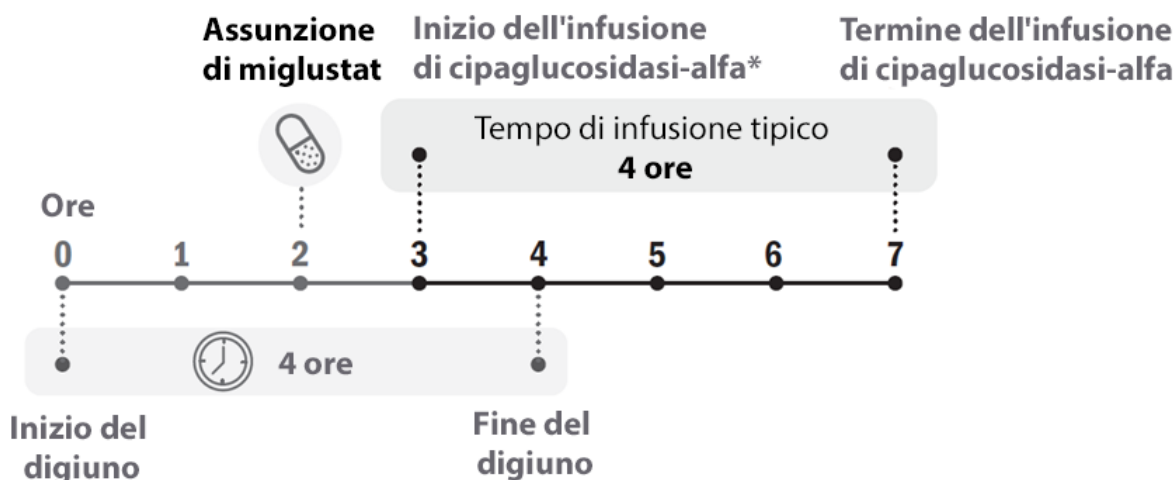
- Riceverà Opfolda e cipaglucosidasi alfa una volta ogni due settimane. Entrambi sono usati nello stesso giorno.
- Assuma entrambi i medicinali esattamente come le è stato indicato dal medico, vedere Figura 1. Questo per favorire il miglior effetto possibile del trattamento.

Opfolda con i cibi

Deve assumere Opfolda per via orale a stomaco vuoto.

- Resti a digiuno per 2 ore prima e 2 ore dopo l'assunzione di questo medicinale.
- Durante questo periodo di digiuno di 4 ore, può consumare acqua, latte vaccino senza grassi (scremato), tè o caffè. Non usi panna, latte vaccino intero/parzialmente scremato, tipi di latte non lattiero-caseari, zucchero o dolcificanti. Può consumare latte vaccino senza grassi (scremato) con il tè o caffè.
- Due ore dopo l'assunzione di Opfolda, può riprendere ad alimentarsi (cibi e bevande) normalmente.

Figura 1. Tempistica di somministrazione della dose



* Opfolda (capsule rigide di miglustat 65 mg) deve essere assunto circa 1 ora, ma non più di 3 ore, prima di iniziare l'infusione di cipaglucosidasi alfa.

Passaggio da un'altra terapia enzimatica sostitutiva (ERT)

Se attualmente è in trattamento con un'altra terapia enzimatica sostitutiva:

- Il medico le dirà quando interrompere l'altra ERT prima di iniziare Opfolda.
- informi il medico quando ha completato l'ultima dose.

Se prende più Opfolda di quanto deve



Informi immediatamente il medico o si rechi in ospedale se accidentalmente prende più capsule di quelle prescritte. Potrebbe essere a maggior rischio di manifestare effetti indesiderati con questo medicinale (vedere paragrafo “Quali possono essere gli effetti indesiderati di Opfolda”). Il medico fornirà l'appropriata assistenza di supporto.

Se dimentica di prendere Opfolda

Se salta una dose di Opfolda, consulti il medico o l'infermiere. Contatti immediatamente il medico o l'infermiere per fissare un nuovo appuntamento per la terapia con miglustat in associazione con cipaglucosidasi alfa non appena possibile.

Se interrompe il trattamento con Opfolda

Parli con il medico se desidera interrompere il trattamento con Opfolda. I sintomi della malattia potrebbero peggiorare se interrompe il trattamento.

Non si scosti dal dosaggio prescritto. Se ritiene che l'effetto del medicinale sia troppo debole o troppo forte, parli con il medico o il farmacista.

Quali effetti collaterali può avere Opfolda?

Come tutti i medicinali, questo medicinale può causare effetti indesiderati sebbene non tutte le persone li manifestino.

Opfolda viene usato con la cipaglucosidasi alfa e possono manifestarsi effetti collaterali dovuti a uno qualsiasi di questi medicinali.

Possono manifestarsi i seguenti effetti indesiderati:

Reazioni allergiche

Le reazioni allergiche possono includere sintomi quali eruzioni cutanee in qualsiasi parte del corpo, occhi gonfi, prolungata difficoltà a respiratoria, tosse, gonfiore delle labbra, della lingua o della gola, prurito della pelle e orticaria.

Informi il medico o l'infermiere immediatamente se sta manifestando o ritiene che potrebbe manifestare una reazione allergica. Informi il medico o l'infermiere se ha già presentato una reazione di questo tipo.

Molto comune (interessa più di un paziente su 10)

- Mal di testa

Comune (interessa da 1 a 10 pazienti su 100)

- Grave reazione allergica potenzialmente letale (reazione anafilattica)
- Disturbi del gusto
- Sensazione di vertigine
- Tremore
- Sensazione di sonnolenza
- Sensazione di intorpidimento, formicolio (parestesia)
- Battito cardiaco accelerato
- Arrossamento cutaneo
- Ipertensione



- Ipotensione
- Respiro affannoso
- Tosse
- Diarrea
- Sensazione di malessere (nausea)
- Dolore addominale
- Flatulenza
- Gonfiore
- Vomito
- Stipsi
- Orticaria
- Prurito
- Eruzione cutanea
- Sudorazione eccessiva
- Crampi muscolari dolorosi
- Dolori muscolari
- Debolezza muscolare
- Dolori articolari
- Stanchezza
- Febbre
- Brividi
- Sensazione di fastidio al petto
- Gonfiore nella zona del corpo in cui è stato inserito l'ago
- Dolore
- Gonfiore alle mani, ai piedi, alle caviglie e alle gambe

Non comune (interessa da 1 a 10 pazienti su 1 000)

- Reazione allergica
- Impossibile mantenere l'equilibrio
- Sensazione di bruciore
- Emicrania
- Sensazione di mancamento
- Insolito pallore cutaneo
- Asma
- Respiro sibilante
- Fastidio alla bocca e alla gola
- Gola gonfia
- Malessere gastrico
- Indigestione
- Dolore o contrazioni dolorose nell'esofago
- Dolore o fastidio alla bocca
- Lingua gonfia
- Alterazione del colore della pelle
- Gonfiore della pelle
- Dolore nella zona tra le costole e l'anca
- Affaticamento muscolare
- Rigidità muscolare



- Debolezza
- Dolore alle guance, alle gengive, alle labbra, al mento
- Dolore nella zona del corpo in cui è stato inserito l'ago
- Sensazione generale di malessere
- Nervosismo
- Dolore al petto
- Gonfiore facciale
- Variazioni della temperatura corporea
- Graffi o danni cutanei
- Diminuzione delle piastrine o di un tipo di globuli bianchi, riscontrata con gli esami

Se manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, si rivolga al medico o al farmacista. Ciò include, in particolare, i possibili effetti indesiderati che non sono elencati in questo foglio.

Di che altro occorre tener conto?

Non usi questo medicinale dopo la data di scadenza che è riportata sul flaconcino e sulla scatola dopo "Scad". La data di scadenza si riferisce alla data dell'ultimo giorno di quel mese.

Precauzioni per la conservazione

Non conservare a una temperatura superiore a 30 °C.

Tenere fuori dalla portata dei bambini.

Ulteriori informazioni

Non getti alcun medicinale nell'acqua di scarico e nei rifiuti domestici. Chiedi al farmacista come eliminare i medicinali che non usa più. Questo aiuterà a proteggere l'ambiente.

Il medico o il farmacista potrà darle informazioni aggiuntive. Queste persone posseggono le informazioni complete per gli operatori sanitari.

Cosa contiene Opfolda?

Opfolda è una capsula rigida di dimensione 2, con cappuccio grigio opaco e corpo bianco opaco con impresso "AT2221" in nero sul corpo, contenente polvere di colore da bianco a biancastro.

Principi attivi

Il principio attivo è miglustat. Ogni capsula rigida contiene 65 mg di miglustat.

Sostanze ausiliarie

Contenuto delle capsule: amido (di mais) pregelatinizzato, magnesio stearato (E470b), cellulosa microcristallina (E460i), sucralosio (E955), biossido di silicio colloidale

Involucro della capsula: gelatina, biossido di titanio (E171), ossido di ferro nero (E172)

Inchiostro per stampa: ossido di ferro nero (E172), potassio idrossido (E525), propilenglicole (E1520), soluzione di ammoniaca concentrata (E527), gommalacca (E904)

Numero dell'omologazione

67806 (Swissmedic)

Dove è ottenibile Opfolda? Quali confezioni sono disponibili?



Nelle farmacie solo presentando una prescrizione medica.
Flaconi da 4 e 24 capsule rigide.

Titolare dell'omologazione

Amicus Therapeutics Switzerland GmbH
Seefeldstrasse 69
CH-8008 Zurigo
Svizzera

Questo foglietto illustrativo è stato controllato l'ultima volta nel maggio 2025 dall'autorità competente in materia di medicinali (Swissmedic).

