

## **Gebrauchsinformation: Information für Patienten**

### **Opfolda 65 mg Hartkapseln** Miglustat

**Lesen Sie die gesamte Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Sie mit der Anwendung dieses Arzneimittels beginnen, denn sie enthält wichtige Informationen.**

- Heben Sie die Packungsbeilage auf. Vielleicht möchten Sie diese später nochmals lesen.
- Wenn Sie weitere Fragen haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt, Apotheker oder das medizinische Fachpersonal.
- Dieses Arzneimittel wurde Ihnen persönlich verschrieben. Geben Sie es nicht an Dritte weiter. Es kann anderen Menschen schaden, auch wenn diese die gleichen Beschwerden haben wie Sie.
- Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt, Apotheker oder das medizinische Fachpersonal. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Siehe Abschnitt 4.

#### **Was in dieser Packungsbeilage steht**

1. Was ist Opfolda und wofür wird es angewendet?
2. Was sollten Sie vor der Einnahme von Opfolda beachten?
3. Wie ist Opfolda einzunehmen?
4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?
5. Wie ist Opfolda aufzubewahren?
6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

#### **1. Was ist Opfolda und wofür wird es angewendet?**

##### **Was ist Opfolda?**

Opfolda ist ein Arzneimittel, das bei Erwachsenen zu 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 Enzymersatztherapie (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.

##### **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.

## **2. Was sollten Sie vor der Einnahme von Opfolda beachten?**

### **Opfolda darf nicht eingenommen werden**

- Wenn Sie allergisch gegen Miglustat oder einen der in Abschnitt 6. genannten sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels sind.
- Wenn Sie allergisch gegen Cipagluco­sidase alfa sind.

### **Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen**

Sprechen Sie mit Ihrem Arzt, Apotheker oder dem medizinischen Fachpersonal, bevor Sie Opfolda einnehmen.

#### Achten Sie auf schwerwiegende Nebenwirkungen

Opfolda wird zusammen mit Cipagluco­sidase alfa, einer Enzy­mersatztherapie (ERT) angewendet, daher müssen Sie auch die Packungsbeilage von Cipagluco­sidase alfa lesen. Diese Arzneimittel können Nebenwirkungen verursachen, die Sie Ihrem Arzt unverzüglich mitteilen müssen. Dazu gehören auch allergische Reaktionen. Anzeichen allergischer Reaktionen sind in Abschnitt 4 „Allergische Reaktionen“ aufgeführt. Diese können schwerwiegend sein und während der Verabreichung des Arzneimittels oder in den Stunden danach auftreten.

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

### **Kinder und Jugendliche**

Dieses Arzneimittel darf nicht an Patienten unter 18 Jahren verabreicht werden. Der Grund dafür ist, dass die Wirkungen von Opfolda in Verbindung mit Cipagluco­sidase alfa in dieser Altersgruppe nicht bekannt sind.

### **Einnahme von Opfolda zusammen mit anderen Arzneimitteln**

Informieren Sie einen Arzt oder das medizinische Fachpersonal, wenn Sie andere Arzneimittel anwenden, kürzlich andere Arzneimittel angewendet haben oder beabsichtigen, andere Arzneimittel anzuwenden. Dies gilt auch für rezeptfreie und pflanzliche Arzneimittel.

### **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 um Rat.

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

- Sie dürfen Opfolda nicht einnehmen oder 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.

### **Empfängnisverhütung und Fertilität**

Weibliche Patientinnen müssen vor, während und für 4 Wochen nach Beendigung der Anwendung der beiden Arzneimittel eine zuverlässige Verhütungsmethode anwenden.

### **Verkehrstüchtigkeit und Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen**

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

### **3. Wie ist Opfolda einzunehmen?**

Nehmen Sie dieses Arzneimittel immer genau nach Absprache mit Ihrem Arzt ein. Fragen Sie bei Ihrem Arzt oder Apotheker 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?**

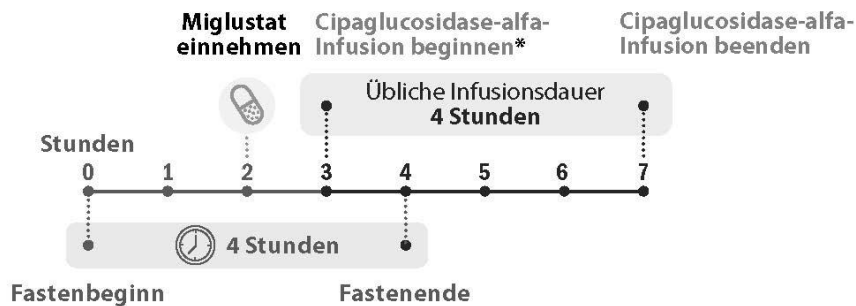
- Sie erhalten Opfolda und Cipagluco­sidase alfa einmal alle zwei Wochen. Beide werden am selben Tag angewendet.
- Wenden Sie beide Arzneimittel immer genau nach den Anweisungen Ihres Arztes an, siehe Abbildung 1. Das ist wichtig, damit Ihre Behandlung möglichst gut wirkt.

#### **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 keine Sahne, Vollmilch / teilentrahmte Kuhmilch, pflanzliche Milchalternativen, Zucker oder Süßungs-mittel. 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**



\* Miglustat 65 mg Hartkapseln sind etwa 1 Stunde, aber höchstens 3 Stunden vor Beginn der Cipaglucosidase-alfa-Infusion einzunehmen.

### **Umstellung von einer anderen Enzyersatztherapie (ERT)**

Wenn Sie derzeit eine andere ERT erhalten:

- Ihr Arzt wird Ihnen sagen, wann Sie die andere ERT absetzen müssen, bevor Sie mit Opfolda beginnen.
- Teilen Sie Ihrem Arzt 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 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 4). Ihr Arzt 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 oder dem medizinischen Fachpersonal. Wenden Sie sich umgehend an Ihren Arzt oder das medizinische Fachpersonal, um so bald wie möglich einen neuen Termin für Miglustat in Kombination mit Cipaglucosidase alfa zu vereinbaren.

### **Wenn Sie die Einnahme von Opfolda abbrechen**

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

## **4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?**

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

Opfolda wird zusammen mit Cipaglucosidase 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 oder dem medizinischen Fachpersonal, wenn sich bei Ihnen allergische Reaktionen zeigen oder Sie dieses vermuten. Sprechen Sie mit Ihrem Arzt oder dem medizinischen Fachpersonal, wenn Sie jemals eine solche Reaktion hatten.

**Sehr häufig** (kann mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen)

- Kopfschmerzen

**Häufig** (kann bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen)

- Kurzatmigkeit (Dyspnoe)
- Plötzliche Rötung von Gesicht, Hals oder oberem Brustkorb
- Anstieg des Blutdrucks
- Bauchschmerzen
- Blähungen
- Darmwinde
- Weicher, wässriger Stuhl
- Verstopfung
- Erbrechen
- Ermüdung
- Übelkeit
- Fieber
- Stark juckende Quaddeln (Urtikaria)
- Hautausschlag, Juckreiz (Pruritus)
- Schüttelfrost
- Muskelkrämpfe, Muskelschmerzen, Muskelschwäche
- Unwillkürliches Zittern in einem oder mehreren Körperteilen
- Vermehrtes Schwitzen
- Schmerz
- Veränderter Geschmackssinn

**Gelegentlich** (kann bis zu 1 von 100 Behandelten betreffen)

- Asthma
- Allergische Reaktion
- Flaues Gefühl im Magen
- Verdauungsstörung
- Entzündeter oder gereizter Rachen
- Schmerzhafte und abnorme Verkrampfungen des Rachens
- Unbehagen, allgemeines Trägheitsgefühl
- Gefühl der Zerfahrenheit
- Schwellung der Hände, Füße, Knöchel, Beine
- Ständiges Gefühl von Müdigkeit
- Ungewöhnliche Blässe der Haut
- Niedriger Blutdruck
- Verringerung der Blutplättchen oder einer Art von weißen Blutkörperchen – in den Laborwerten
- Schmerzen in Gelenken
- Schmerzen im Bereich zwischen Hüfte und Rippe
- Muskelermüdung
- Erhöhte Steifigkeit der Muskeln
- Benommenheit
- Schmerzen in einer oder beiden Seiten des Kopfes, pochenden Schmerzen, Aura, Augenschmerzen, Lichtempfindlichkeit (Migräne)

- Hautverfärbung
- Gleichgewichtsstörung

### **Meldung von Nebenwirkungen**

Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt, Apotheker oder das medizinische Fachpersonal. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Sie können Nebenwirkungen auch direkt über [das in Anhang V aufgeführte nationale Meldesystem](#) anzeigen. Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

## **5. Wie ist Opfolda aufzubewahren?**

Bewahren Sie dieses Arzneimittel für Kinder unzugänglich auf.  
Sie dürfen dieses Arzneimittel nach dem auf der Flasche und auf dem Umkarton nach „verw.bis“ angegebenen Verfalldatum nicht mehr verwenden. Das Verfalldatum bezieht sich auf den letzten Tag des angegebenen Monats.

Für dieses Arzneimittel sind keine besonderen Lagerungsbedingungen erforderlich.

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

## **6. Inhalt der Packung und weitere Informationen**

### **Was Opfolda enthält**

- Der Wirkstoff ist Miglustat. Jede Hartkapsel enthält 65 mg Miglustat.
- Die sonstigen Bestandteile sind:

#### Kapselinhalt

Vorverkleisterte Stärke (Mais)  
Magnesiumstearat (Ph.Eur.) (E 470b)  
Mikrokristalline Cellulose (E 460i)  
Sucralose (E 955)  
Hochdisperses Siliciumdioxid

#### Kapselhülle

Gelatine  
Titandioxid (E 171)  
Eisen(II,III)-oxid (E 172)

#### Lebensmitteltinte

Eisen(II,III)-oxid (E 172)  
Kaliumhydroxid (E 525)  
Propylenglycol (E 1520)  
Konzentrierte Ammoniak-Lösung  
Schellack (E 904)

### **Wie Opfolda aussieht und Inhalt der Packung**

Flaschen mit 4 und 24 Kapseln.

Es werden möglicherweise nicht alle Packungsgrößen in den Verkehr gebracht.

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.

## **Pharmazeutischer Unternehmer**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Block 1, Blanchardstown Corporate Park  
Ballycoolin Road  
Blanchardstown, Dublin  
D15 AKK1, Irland  
Tel: +353 (0) 1 588 0836  
Fax: +353 (0) 1 588 6851  
E-Mail: info@amicusrx.co.uk

## **Hersteller**

Manufacturing Packaging Farmaca (MPF) B.V.  
Neptunus 12, Heerenveen, 8448CN, Niederlande

Falls Sie weitere Informationen über das Arzneimittel wünschen, setzen Sie sich bitte mit dem örtlichen Vertreter des pharmazeutischen Unternehmers in Verbindung:

### **België/Belgique/Belgien**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tél/Tel: (+32) 0800 89172  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

### **България**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Тел.: (+359) 00800 111 3214  
имейл: MedInfo@amicusrx.com

### **Česká republika**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel.: (+420) 800 142 207  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

### **Danmark**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tlf: (+45) 80 253 262  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

### **Deutschland**

Amicus Therapeutics GmbH  
Tel: (+49) 0800 000 2038  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

### **Eesti**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel: (+372) 800 0111 911  
e-post: MedInfo@amicusrx.com

### **Ελλάδα**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Τηλ: (+30) 00800 126 169  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

### **Lietuva**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel: (+370) 8800 33167  
El. paštas: MedInfo@amicusrx.com

### **Luxembourg/Luxemburg**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tél/Tel: (+352) 800 27003  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

### **Magyarország**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel.: (+36) 06 800 21202  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

### **Malta**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel: (+356) 800 62674  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

### **Nederland**

Amicus Therapeutics BV  
Tel: (+31) 0800 022 8399  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

### **Norge**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tlf: (+47) 800 13837  
e-post: MedInfo@amicusrx.com

### **Österreich**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel: (+43) 0800 909 639  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**España**

Amicus Therapeutics S.L.U.  
Tel: (+34) 900 941 616  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**France**

Amicus Therapeutics SAS  
Tél: (+33) 0 800 906 788  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**Hrvatska**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel: (+358) 0800 222 452  
e-pošta: MedInfo@amicusrx.com

**Ireland**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel: (+353) 1800 936 230  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**Ísland**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Sími: (+354) 800 7634  
Netfang: MedInfo@amicusrx.com

**Italia**

Amicus Therapeutics S.r.l.  
Tel: (+39) 800 795 572  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**Κύπρος**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Τηλ: (+357) 800 97595  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**Latvija**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel: (+371) 800 05391  
e-pasts: MedInfo@amicusrx.com

**Polska**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel.: (+48) 0080 012 15475  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**Portugal**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel: (+351) 800 812 531  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**România**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel.: (+40) 0808 034 288  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**Slovenija**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel.: (+386) 0800 81794  
e-pošta: MedInfo@amicusrx.com

**Slovenská republika**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tel: (+421) 0800 002 437  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**Suomi/Finland**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Puh/Tel: (+358) 0800 917 780  
sähköposti/E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**Sverige**

Amicus Therapeutics Europe Limited  
Tfn: (+46) 020 795 493  
e-post: MedInfo@amicusrx.com

**United Kingdom (Northern Ireland)**

Amicus Therapeutics, UK Limited  
Tel: (+44) 08 0823 46864  
E-Mail: MedInfo@amicusrx.com

**Diese Packungsbeilage wurde zuletzt überarbeitet im**

**Weitere Informationsquellen**

Ausführliche Informationen zu diesem Arzneimittel sind auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur <http://www.ema.europa.eu/> verfügbar. Sie finden dort auch Links zu anderen Internetseiten über seltene Erkrankungen und Behandlungen.