



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/259022/2016
EMA/H/C/004059

Περίληψη EPAR για το κοινό

Galafold μιγαλαστάτη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Galafold. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Galafold.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Galafold, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευόμαστε το φύλλο οδηγιών χρήσης που συνοδεύει το φάρμακο ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Galafold και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Galafold είναι ένα φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών ηλικίας 16 ετών ή μεγαλύτερης που πάσχουν από τη νόσο Fabry. Πρόκειται για μια σπάνια κληρονομική διαταραχή, κατά την οποία οι ασθενείς παρουσιάζουν διάφορες μεταλλάξεις (αλλαγές) στο γονίδιο που είναι υπεύθυνο για την παραγωγή ενός ενζύμου που ονομάζεται άλφα-γαλακτοσιδάση Α, το οποίο συνήθως διασπά μια λιπώδη ουσία που ονομάζεται σφαιροτριοσουλκεραμίδη (GL-3). Στους ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο Fabry αυτό το ένζυμο δεν λειτουργεί σωστά. Ως εκ τούτου, η GL-3 δεν είναι δυνατό να διασπαστεί και συσσωρεύεται σε διάφορα κύτταρα του σώματος, συμπεριλαμβανομένης της καρδιάς και των νεφρών.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με νόσο Fabry και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Galafold χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 22 Μαΐου 2006.

Το Galafold περιέχει τη δραστική ουσία μιγαλαστάτη.



Πώς χρησιμοποιείται το Galafold;

Το Galafold χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η θεραπεία πρέπει να ξεκινάει και να πραγματοποιείται υπό την επίβλεψη ιατρού με πείρα στη διάγνωση και τη θεραπεία της νόσου Fabry.

Το Galafold διατίθεται υπό μορφή καψακίων (123 mg). Η συνιστώμενη δόση του Galafold είναι ένα καψάκιο κάθε δεύτερη ημέρα, λαμβανόμενο από το στόμα τουλάχιστον 2 ώρες πριν ή μετά την κατανάλωση τροφής.

Το Galafold προορίζεται μόνο για χρήση σε ασθενείς με συγκεκριμένες μεταλλάξεις του γονιδίου άλφα-γαλακτοσιδάση Α. Για περισσότερες πληροφορίες ανατρέξτε στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR).

Πώς δρα το Galafold;

Η δραστική ουσία στο Galafold, η μιγαλαστάτη, δεσμεύεται σε συγκεκριμένες ασταθείς μορφές της άλφα-γαλακτοσιδάσης Α, σταθεροποιώντας το ένζυμο. Με αυτόν τον τρόπο παρέχεται στο ένζυμο η δυνατότητα να μεταφερθεί σε άλλες περιοχές του κυττάρου όπου μπορεί να διασπάσει την GL-3.

Ποια είναι τα οφέλη του Galafold σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Galafold μελετήθηκε σε δύο βασικές μελέτες, στις οποίες συμμετείχαν συνολικά 127 ασθενείς με τη νόσο Fabry.

Στην πρώτη μελέτη, στην οποία έγινε σύγκριση του Galafold με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε 67 ασθενείς, διερευνήθηκε η αναλογία ασθενών που ανταποκρίθηκαν στη θεραπεία (ορίστηκε ως μείωση κατά τουλάχιστον 50% στις εναποθέσεις GL-3 στους νεφρούς). Γενικά, το Galafold δεν αποδείχθηκε πιο αποτελεσματικό από το εικονικό φάρμακο ως προς τη μείωση των εναποθέσεων GL-3. Ωστόσο, επιπλέον αναλύσεις που περιελάμβαναν μόνο ασθενείς με γενετικές μεταλλάξεις που μπορούν να αντιμετωπιστούν με Galafold κατέδειξαν ότι οι ασθενείς παρουσίασαν καλύτερη ανταπόκριση στο Galafold σε σχέση με την ανταπόκριση στο εικονικό φάρμακο μετά από 6 μήνες θεραπείας.

Στη δεύτερη μελέτη που πραγματοποιήθηκε σε 60 ασθενείς, έγινε σύγκριση του Galafold με τα φάρμακα αγγιτινινοειδή ή αγγιτινινοειδή βήτα, δύο θεραπείες υποκατάστασης του ελλείποντος ενζύμου. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή στη λειτουργία των νεφρών του ασθενούς μετά από 18 μήνες θεραπείας. Σε αυτήν τη μελέτη, το Galafold αποδείχθηκε εξίσου αποτελεσματικό με τη θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης στη σταθεροποίηση της νεφρικής λειτουργίας των ασθενών.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Galafold;

Η συχνότερη ανεπιθύμητη ενέργεια του Galafold (ενδέχεται να εμφανιστεί σε περίπου 1 στα 10 άτομα) είναι ο πονοκέφαλος.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Galafold περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Galafold;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού έκρινε ότι τα οφέλη του Galafold υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ. Η επιτροπή επισήμανε ότι το Galafold μελετήθηκε σε περιορισμένο αριθμό ασθενών, ωστόσο τα διαθέσιμα στοιχεία θεωρούνται επαρκή για μια τόσο σπάνια νόσο. Η CHMP επισήμανε επίσης

ότι το Galafold λαμβάνεται από του στόματος, γεγονός που θα μπορούσε να αποτελεί πλεονέκτημα σε σύγκριση με άλλες εγκεκριμένες θεραπείες, όπως η θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης, οι οποίες χορηγούνται με έγχυση (ενστάλαξη) σε φλέβα. Όσον αφορά την ασφάλεια, το Galafold ήταν καλά ανεκτό.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Galafold;

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το Galafold χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του σχεδίου αυτού, στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του Galafold συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς και με τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Λοιπές πληροφορίες για το Galafold

Η πλήρης EPAR του Galafold διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Galafold, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Galafold διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).