



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumen del EPAR para el público general

Galafold migalastat

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Galafold. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Galafold.

Para más información sobre el tratamiento con Galafold, el paciente deberá leer el prospecto o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Galafold y para qué se utiliza?

Galafold es un medicamento para tratar a pacientes de 16 años de edad en adelante con enfermedad de Fabry. Esta enfermedad es un trastorno hereditario raro en el que los pacientes presentan diversas mutaciones (cambios) en el gen responsable de la producción de una enzima denominada alfa-galactosidasa A, que normalmente descompone una sustancia grasa denominada globotriaosilceramida (GL-3). En los pacientes con enfermedad de Fabry esta enzima no funciona adecuadamente. En consecuencia, la GL-3 no se puede descomponer y se acumula en diversas células del organismo, incluyendo el corazón y los riñones.

Dado el escaso número de pacientes con enfermedad de Fabry, esta enfermedad se considera «rara», y Galafold fue designado «medicamento huérfano» (medicamento utilizado en enfermedades raras) el 22 de mayo de 2006.

Galafold contiene el principio activo migalastat.



¿Cómo se usa Galafold?

Galafold solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento solo debe ser iniciado y supervisado por un médico con experiencia en el diagnóstico y el tratamiento de la enfermedad de Fabry.

Galafold se presenta en forma de cápsulas (123 mg). La dosis recomendada de Galafold es de una cápsula un día sí y un día no, que se toma por vía oral al menos 2 horas antes o después de la comida.

Galafold solo se usa en pacientes con ciertas mutaciones en el gen de la alfa-galactosidasa A. Para obtener más información, véase el Resumen de Características del Producto (que también forma parte del EPAR).

¿Cómo actúa Galafold?

El principio activo de Galafold, migalastat, se acopla a ciertas formas inestables de la alfa-galactosidasa A, estabilizando la enzima. Esto permite que la enzima se transporte a zonas de la célula en la que puede descomponer la GL-3.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Galafold en los estudios realizados?

Galafold se ha investigado en dos estudios principales en los que participaron en total 127 pacientes con enfermedad de Fabry.

El primer estudio, que comparó Galafold con placebo (un tratamiento simulado) en 67 pacientes, se fijó en el porcentaje de pacientes que respondieron al tratamiento (lo que se define como un descenso de al menos el 50 % en los depósitos de GL-3 en los riñones). En general, no se halló que Galafold fuese más eficaz que placebo a la hora de reducir los depósitos de GL-3; sin embargo, otros análisis adicionales en los que solo participaron pacientes cuyas mutaciones genéticas se pueden tratar con Galafold, mostraron que los pacientes respondieron mejor a Galafold que a placebo después de 6 meses de tratamiento.

El segundo estudio, en 60 pacientes, comparó Galafold con los medicamentos agalsidasa alfa o agalsidasa beta, dos tratamientos que sustituyen a la enzima que falta. El criterio de valoración principal de eficacia fue el cambio en la función renal de los pacientes después de 18 meses de tratamiento. En este estudio, se halló que Galafold era tan eficaz como la sustitución enzimática a la hora de estabilizar la función renal del paciente.

¿Cuál es el riesgo asociado a Galafold?

El efecto adverso más frecuente con Galafold (que puede afectar a alrededor de 1 de cada 10 personas) es el dolor de cabeza.

Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones de Galafold, ver el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Galafold?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Galafold son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE. El Comité señaló que Galafold se estudió en un número reducido de pacientes, sin embargo se considera que las pruebas disponibles son suficientes para esta enfermedad rara. El CHMP también señaló que Galafold se toma por vía oral y esto podría ser una ventaja en comparación con otros tratamientos autorizados como la

sustitución enzimática que se administran mediante perfusión intravenosa (goteo). En relación con la seguridad, Galafold se toleró bien.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Galafold?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Galafold se administra de una forma lo más segura posible. Basándose en este plan, se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Galafold la información sobre seguridad que incluye las precauciones pertinentes que deben adoptar los profesionales sanitarios y los pacientes.

Otras informaciones sobre Galafold

El EPAR completo de Galafold puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mayor información sobre el tratamiento con Galafold, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Galafold puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).