



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Galafold

migalastaatti

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Galafold-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Galafoldin käytöstä.

Potilas saa Galafoldin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Galafold on ja mihin sitä käytetään?

Galafold on tarkoitettu sellaisten yli 16-vuotiaiden potilaiden hoitoon, jotka sairastavat Fabryn tautia. Fabryn tauti on harvinainen perinnöllinen sairaus, jossa potilailla esiintyy erilaisia mutaatioita (muutoksia) α -galaktosidaasi A -entsyymiä tuottavassa geenissä. Kyseinen entsyymi tavallisesti hajottaa rasva-ainetta nimeltä globotriaosyylliseramiidi (GL-3). Fabryn tautia sairastavilla potilailla tämä entsyymi ei toimi kunnolla. Sen seurauksena GL-3 ei hajoa vaan sitä kerääntyy tiettyihin soluihin kehossa, esimerkiksi sydämessä ja munuaisissa.

Koska Fabryn tautia sairastavia potilaita on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi; Galafold nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 22. toukokuuta 2006.

Galafoldin vaikuttava aine on migalastaatti.

Miten Galafoldia käytetään?

Galafoldia saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa vain sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta Fabryn taudin diagnosoinnista ja hoidosta.

Galafoldia on saatavana kapseleina (123 mg). Suositeltu annos Galafoldia on yksi kapseli joka toinen päivä otettuna suun kautta vähintään kaksi tuntia ennen ruokailua tai ruokailun jälkeen.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Galafold on tarkoitettu ainoastaan potilaille, joilla on tiettyjä mutaatioita α -galaktosidaasi A -entsyymiä tuottavassa geenissä. Lisätietoja on valmisteyhteenvedossa (sisältyy myös EPAR-lausuntoon).

Miten Galafold vaikuttaa?

Galafoldin vaikuttava aine migalastaatti kiinnittyy tiettyihin α -galaktosidaasi A:n epävakaisiin muotoihin ja vakauttaa entsyymin toimintaa. Tällä tavoin entsyymi pääsee kulkemaan solun osiin, joissa se voi hajottaa GL-3:a.

Mitä hyötyä Galafoldista on havaittu tutkimuksissa?

Galafoldia on tutkittu kahdessa päätutkimuksessa, joihin osallistui yhteensä 127 Fabryn tautia sairastavaa potilasta.

Ensimmäisessä tutkimuksessa, jossa Galafoldia verrattiin lumelääkkeeseen 67 potilaalla, tarkasteltiin niiden potilaiden osuutta, jotka vastasivat hoitoon (eli joilla GL-3:n kertyminen munuaisiin väheni vähintään 50 prosenttia). Yleisesti katsoen Galafoldin ei todettu vähentävän GL-3:n kertymistä lumelääkettä tehokkaammin. Lisäanalyysit yksinomaan niillä potilailla, joilla oli Galafoldilla hoidettavia geneettisiä mutaatioita, osoittivat kuitenkin, että näillä potilailla saatiin kuuden kuukauden hoidon jälkeen Galafoldilla lumelääkettä parempi vaste.

Toisessa tutkimuksessa, johon osallistui 60 potilasta, Galafoldia verrattiin alfa-agalsidaasi- ja beeta-agalsidaasi-lääkevalmisteisiin, jotka korvaavat puuttuvan entsyymin. Tehon pääasiallinen mitta oli muutos potilaiden munuaisten toiminnassa 18 kuukauden hoidon jälkeen. Tässä tutkimuksessa Galafoldin todettiin vakauttavan potilaiden munuaisten toimintaa yhtä tehokkaasti kuin entsyymikorvaushoito.

Mitä riskejä Galafoldiin liittyy?

Galafoldin yleisin sivuvaikutus (jota saattaa aiheutua noin 1 potilaalle 10:stä) on päänsärky.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Galafoldin ilmoitetusta sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Galafold on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Galafoldin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa. Komitea pani merkille, että Galafoldia tutkittiin vain rajallisella määrällä potilaita, mutta näytön katsotaan riittävän näin harvinaisen sairauden kohdalla. Lääkevalmistekomitea pani merkille myös, että Galafold otetaan suun kautta, mikä saattaa olla etu verrattuna muihin hyväksytyihin hoitoihin, kuten entsyymikorvaushoitoon, jotka annetaan infuusiona (tiputuksena) laskimoon. Turvallisuuden osalta Galafoldia siedettiin hyvin.

Miten voidaan varmistaa Galafoldin turvallinen ja tehokas käyttö?

Galafoldin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on laadittu riskinhallintasuunnitelma. Sen mukaiset turvallisuustiedot on liitetty Galafoldin valmisteyhteenvetoon ja pakkauselosteeseen, mukaan lukien tiedot asianmukaisista varotoimista terveydenhoidon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Muita tietoja Galafoldista

Galafoldia koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Lisää tietoa Galafold-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Galafoldia koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).