



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Résumé EPAR à l'intention du public

---

# Galafold

## migalastat

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Galafold. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Galafold.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Galafold, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

### Qu'est-ce que Galafold et dans quel cas est-il utilisé?

Galafold est un médicament utilisé pour le traitement des patients âgés de 16 ans et plus atteints de la maladie de Fabry. Il s'agit d'une maladie héréditaire rare dans laquelle les patients présentent diverses mutations (modifications) dans le gène responsable de la production d'une enzyme appelée alpha-galactosidase A, qui élimine habituellement une substance lipidique appelée globotriaosylcéramide (GL-3). Chez les patients atteints de la maladie de Fabry, cette enzyme ne fonctionne pas correctement. Cette anomalie empêche donc l'élimination de GL-3 et entraîne son accumulation dans diverses cellules de l'organisme, notamment le cœur et les reins.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par la maladie de Fabry, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Galafold a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 22 mai 2006.

Galafold contient le principe actif migalastat.

### Comment Galafold est-il utilisé?

Galafold n'est délivré que sur ordonnance et le traitement ne doit être instauré et surveillé que par un médecin ayant l'expérience du diagnostic et du traitement de la maladie de Fabry.



Galafold est disponible en gélules (123 mg). La dose recommandée de Galafold est d'une gélule un jour sur deux, prise par voie orale au moins 2 heures avant ou après un repas.

Galafold n'est destiné à être utilisé que par les patients porteurs de certaines mutations du gène de l'alpha-galactosidase A. Pour plus d'informations, voir le résumé des caractéristiques du produit (également compris dans l'EPAR).

## **Comment Galafold agit-il?**

Le principe actif de Galafold, le migalastat, se fixe à certaines formes instables de l'alpha-galactosidase A, ce qui stabilise cette enzyme et lui permet d'être transportée dans des zones de la cellule où elle peut éliminer GL-3.

## **Quels sont les bénéfices de Galafold démontrés au cours des études?**

Galafold a fait l'objet de deux études principales incluant au total 127 patients atteints de la maladie de Fabry.

La première étude, qui a comparé Galafold à un placebo (un traitement fictif) chez 67 patients, a analysé la proportion de patients qui répondaient au traitement (la réponse étant définie comme une diminution d'au moins 50 % des dépôts de GL-3 dans les reins). Dans l'ensemble, Galafold ne s'est pas révélé plus efficace que le placebo pour diminuer les dépôts de GL-3; toutefois, des analyses complémentaires incluant uniquement les patients porteurs des mutations génétiques pouvant être traitées par Galafold ont montré que ces patients répondaient mieux à Galafold qu'au placebo après 6 mois de traitement.

La deuxième étude, menée chez 60 patients, a comparé Galafold aux médicaments agalsidase alfa ou agalsidase bêta, deux traitements qui remplacent l'enzyme absente. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la modification de la fonction rénale des patients après 18 mois de traitement. Dans cette étude, Galafold s'est avéré aussi efficace que le traitement enzymatique substitutif pour stabiliser la fonction rénale des patients.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Galafold?**

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Galafold (qui peuvent toucher environ une personne sur 10) sont les maux de tête.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Galafold, voir la notice.

## **Pourquoi Galafold est-il approuvé?**

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a estimé que les bénéfices de Galafold sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée. Le comité a pris note que Galafold a été étudié sur un nombre limité de patients, mais les données scientifiques disponibles ont été jugées suffisantes pour ce genre de maladie rare. Le CHMP a également relevé que Galafold est pris par voie orale et que cela pourrait constituer un avantage par rapport aux autres traitements autorisés, tels que le traitement enzymatique substitutif, qui sont administrés par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine. Concernant la sécurité, Galafold a été bien toléré.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Galafold?**

Un plan de gestion des risques a été élaboré pour s'assurer que Galafold est utilisé d'une manière aussi sûre que possible. Sur la base de ce plan, des informations de sécurité ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice de Galafold, y compris les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients.

### **Autres informations relatives à Galafold:**

L'EPAR complet relatif à Galafold est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Galafold, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Galafold est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).