



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Galafold

migalastát

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Galafold. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Galafold.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Galafold, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Galafold a na čo sa používa?

Liek Galafold sa používa na liečbu pacientov vo veku 16 rokov alebo starších s Fabryho chorobou. Ide o zriedkavú dedičnú poruchu, pri ktorej pacienti majú rôzne mutácie (zmeny) génu zodpovedného za vytváranie enzýmu s názvom alfa-galaktozidáza A, ktorý za normálnych okolností rozkladá tukovú látku s názvom globotriaoylceramid (GL-3). U pacientov s Fabryho chorobou tento enzým nepôsobí správne. Výsledkom je, že GL-3 sa nemôže rozložiť a ukladá sa v rôznych bunkách v tele vrátane srdca a obličiek.

Kedže je počet pacientov s Fabryho chorobou nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Galafold 22. mája 2006 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Galafold obsahuje účinnú látku migalastát.

Ako sa liek Galafold užíva?

Výdaj lieku Galafold je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať iba lekár, ktorý má skúsenosti s diagnostikou a liečbou Fabryho choroby.

Liek Galafold je k dispozícii vo forme kapsúl (123 mg). Odporúčaná dávka lieku Galafold je jedna kapsula každý druhý deň, užívaná ústne aspoň dve hodiny pred jedlom alebo po jedle.



Liek Galafold sa používa len u pacientov s určitými mutáciami v géne alfa-galaktozidázy. Viac informácií sa nachádza v súhrne charakteristických vlastností lieku (súčasť správy EPAR).

Akým spôsobom liek Galafold účinkuje?

Účinná látka v lieku Galafold, migalastát, sa viaže na určité nestabilné formy alfa-galaktozidázy A, čím sa enzým stabilizuje. To umožňuje transport enzýmu do oblastí bunky, kde môže rozkladať GL-3.

Aké prínosy lieku Galafold boli preukázané v štúdiách?

Liek Galafold sa skúmal v dvoch hlavných štúdiách, ktorých sa zúčastnilo celkovo 127 pacientov s Fabryho chorobou.

V prvej štúdii, v ktorej sa liek Galafold porovnával s placebo (zdanlivým liekom) u 67 pacientov, sa skúmal počet pacientov, ktorí reagovali na liečbu (vymedzené ako zníženie depozitov GL-3 v obličkách aspoň o 50 %). Celkovo sa nezistilo, že liek Galafold je pri znížení depozitov GL-3 účinnejší ako placebo; ďalšie analýzy vrátane analýz zahŕňajúcich len pacientov s genetickými mutáciami, ktoré sa dajú liečiť liekom Galafold, však preukázali, že pacienti reagovali po šiestich mesiacoch liečby lepšie na liek Galafold ako na placebo.

V druhej štúdii, ktorej sa zúčastnilo 60 pacientov, sa porovnával liek Galafold s liekmi agalzidáza alfa alebo agalzidáza beta, čo sú dve liečby, ktoré nahrádzajú chýbajúci enzým. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena funkcie obličiek u pacientov po 18 mesiacoch liečby. V tejto štúdii sa zistilo, že liek Galafold je pri stabilizácii funkcie obličiek u pacientov rovnako účinný ako náhradná enzýmová liečba.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Galafold?

Najčastejší vedľajší účinok lieku Galafold (ktorý môže postihnúť asi jednu osobu z desiatich) je bolesť hlavy.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Galafold a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Galafold povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Galafold sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ. Výbor poznamenal, že liek Galafold sa skúmal u obmedzeného počtu pacientov, avšak dostupné dôkazy sa považujú za dostatočné pre takéto zriedkavé ochorenie. Výbor CHMP tiež poznamenal, že liek Galafold sa užíva ústne, čo by mohlo byť výhodou v porovnaní s inými schválenými liečbami, ako je náhradná enzýmová liečba, ktoré sa podávajú formou infúzie (kvapkania) do žily. Pokiaľ ide o bezpečnosť, liek Galafold bol dobre znášaný.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Galafold?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Galafold bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Galafold vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Galafold

Úplné znenie správy EPAR o lieku Galafold sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Galafold, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Galafold sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).