



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Galafold

migalastat

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Galafold. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Galafold naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Galafold in za kaj se uporablja?

Zdravilo Galafold se uporablja za zdravljenje bolnikov, starih 16 let ali več, s Fabryjevo boleznijo. To je redka prirojena motnja, pri kateri imajo bolniki različne mutacije (spremembe) v genu, ki proizvaja encim, imenovan α -galaktozidaza A, ki običajno razgradi maščobno snov, znano kot globotriaozilceramid (GL-3). Pri bolnikih s Fabryjevo boleznijo ta encim ne deluje pravilno. Posledično se GL-3 ne razgradi, ampak se kopiči v različnih celicah v telesu, med drugim v srcu in ledvicah.

Ker je bolnikov s Fabryjevo boleznijo malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Galafold 22. maja 2006 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Vsebuje zdravilno učinkovino migalastat.

Kako se zdravilo Galafold uporablja?

Izdaja zdravila Galafold je le na recept, zdravljenje pa lahko uvede in nadzoruje le zdravnik z izkušnjami z diagnosticiranjem in zdravljenjem Fabryjeve bolezni.

Zdravilo Galafold je na voljo v obliki kapsul (123 mg). Priporočeni odmerek zdravila Galafold je ena kapsula vsak drugi dan, ki se vzame peroralno vsaj dve uri pred jedjo ali po njej.



Zdravilo Galafold se uporablja le pri bolnikih z določenimi mutacijami v genu α -galaktozidaza A. Za več informacij glejte povzetek glavnih značilnosti zdravila (ki je prav tako del EPAR).

Kako zdravilo Galafold deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila Galafold, migalastat, se veže na določene nestabilne oblike α -galaktozidaze A in s tem stabilizira encim. To omogoča encimu, da se razmešča v območja v celici, kjer lahko razgradi GL-3.

Kakšne koristi je zdravilo Galafold izkazalo v študijah?

Zdravilo Galafold so raziskovali v dveh glavnih študijah, ki so vključevale skupno 127 bolnikov s Fabryjevo boleznijo.

Prva študija, kjer so primerjali zdravilo Galafold s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine) pri 67 bolnikih, se je osredotočila na delež bolnikov, ki so se odzvali na zdravljenje (kar je opredeljeno kot zmanjšanje kopičenja GL-3 v ledvicah za vsaj 50 %). V splošnem ni bilo ugotovljeno, da bi bilo zdravilo Galafold pri zmanjševanju kopičenja GL-3 učinkovitejše kot placebo; vendar pa so dodatne analize, ki so vključevale le bolnike z genskimi mutacijami, ki se lahko zdravijo z zdravilom Galafold, pokazale, da so se bolniki po 6 mesecih zdravljenja na zdravilo Galafold odzvali boljše kot na placebo.

V drugi študiji s 60 bolniki so primerjali zdravilo Galafold z zdraviloma agalidaza alfa in agalidaza beta, ki nadomestita manjkajoči encim. Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba v delovanju ledvic bolnikov po 18 mesecih zdravljenja. V tej študiji se je zdravilo Galafold pri stabiliziranju delovanja ledvic bolnikov izkazalo za enako učinkovito kot encimsko nadomestno zdravljenje.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Galafold?

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Galafold (ki lahko prizadene približno 1 osebo od 10) je glavobol.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Galafold glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Galafold odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da so koristi zdravila Galafold večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU. Odbor je opozoril, da je bilo zdravilo Galafold raziskano pri omejenem številu bolnikov, vendar so se razpoložljivi dokazi šteli kot zadostni za tako redko bolezen. Odbor CHMP je prav tako opozoril, da se zdravilo Galafold jemlje peroralno, kar bi bila lahko prednost v primerjavi z ostalimi odobrenimi zdravili, kot je encimsko nadomestno zdravljenje, kjer se zdravilo daje z infundiranjem (kapljično infuzijo) v veno. Kar se tiče varnosti, so bolniki zdravilo Galafold dobro prenašali.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Galafold?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Galafold je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila Galafold in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Druge informacije o zdravilu Galafold

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Galafold je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Galafold preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Galafold je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).