



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Резюме на EPAR за обществено ползване

Galafold

migalastat

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Galafold. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Galafold.

За практическа информация относно употребата на Galafold пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Galafold и за какво се използва?

Galafold е лекарство, което се използва за лечението на пациенти на възраст 16 години и по-големи с болест на Fabry. Това е рядко наследствено нарушение, при което пациентите имат множество мутации (промени) в гена, отговорен за производството на ензим, наречен алфа-галактозидаза А, който обичайно разгражда мастно вещество, наречено глоботриаосилцерамид (GL-3). При пациенти с болест на Fabry, този ензим не работи правилно. В резултат на това, не може да се разгражда GL-3 и той се натрупва в различни клетки на организма, включително в сърцето и бъбреците.

Тъй като броят на пациентите с болест на Fabry е малък, заболяването се смята за „рядко“ и Galafold е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 22 май 2006 г.

Galafold съдържа активното вещество мигаластат (*migalastat*).

Как се използва Galafold?

Galafold се отпуска само по лекарско предписание и лечението трябва да се започне от лекар с опит в диагностицирането и лечението на болестта на Fabry.



Galafold се предлага под формата на капсули (123 mg). Препоръчителната доза на Galafold е една капсула през ден, която се приема през устата поне 2 часа преди или след хранене.

Galafold е предназначен за употреба само при пациенти с определени мутации в гена, който произвежда алфа-галактозидаза А. За повече информация вижте кратката характеристика на продукта (също част от EPAR).

Как действа Galafold?

Активното вещество в Galafold, мигаластат се свързва с определени нестабилни форми на алфа-галактозидаза А, което стабилизира ензима. Това позволява на ензима да бъде пренесен в зони на клетката, където може да разгради GL-3.

Какви ползи от Galafold са установени в проучванията?

Galafold е проучен в две основни проучвания, обхващащи общо 127 пациенти с болест на Fabry.

Първото изпитване, което сравнява Galafold с плацебо (фалшиво лечение) при 67 пациенти, наблюдава дела на пациентите, които се повлияват от лечението (дефинирано, като поне 50% редуция на отлаганията на GL-3 в бъбреците). Като цяло не е установено Galafold да е по-ефективен от плацебо в понижаването на отлаганията на GL-3; допълнителни анализи, обаче, които включват само пациенти, чиито генетични мутации могат да бъдат лекувани с Galafold, демонстрират, че пациентите се повлияват по-добре от Galafold, отколкото от плацебо след 6 месеца лечение.

Второто изпитване при 60 пациенти, сравнява Galafold с лекарствата агалсидаза алфа или агалсидаза бета, два вида лечение, които заместват липсващия ензим. Основната мярка за ефективност е промяната във функцията на бъбреците след 18 месеца лечение. В това изпитване е установено, че Galafold е ефективен като заместител на ензима по отношение на стабилизирането на бъбречната функция на пациентите.

Какви са рисковете, свързани със Galafold?

Най-честата нежелана лекарствена реакция при Galafold (която е възможно да засегне до 1 на 10 души) е главоболие.

За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения, съобщени при Galafold, вижте листовката.

Защо Galafold е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Galafold са по-големи от рисковете, и препоръча Galafold да бъде разрешен за употреба в ЕС. Комитетът отбелязва, че Galafold е изпитван при ограничен брой пациенти, но наличните доказателства се считат за достатъчни за такова рядко заболяване. CHMP отбелязва също, че Galafold се приема през устата и това може да бъде предимство в сравнение с други разрешени форми на лечение, като заместването на ензими, които се прилагат чрез инфузия (накапване) във вена. По отношение на безопасността, Galafold се понася добре.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Galafold?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Galafold се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и в листовката за Galafold, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

Допълнителна информация за Galafold:

Пълният текст на EPAR относно Galafold може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. За повече информация относно лечението със Galafold прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Galafold може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.