



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR – sammendrag for offentligheden

---

# Galafold

## migalastat

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Galafold. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Galafold bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Galafold, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

### Hvad er Galafold, og hvad anvendes det til?

Galafold er et lægemiddel, der anvendes til at behandle patienter i alderen 16 år og derover, som lider af Fabrys sygdom. Fabrys sygdom er en sjælden, arvelig sygdom, hvor patienterne har forskellige mutationer (forandringer) i det gen, der danner enzymet alfa-galaktosidase A, som normalt nedbryder fedtstoffet globotriaosylceramid (GL-3). Dette enzym fungerer ikke normalt hos patienter med Fabrys sygdom. GL-3 kan derfor ikke blive nedbrudt, og det hober sig følgelig op i forskellige celler i kroppen, herunder i hjertet og nyrerne.

Da antallet af patienter med Fabrys sygdom er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Galafold blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 22. maj 2006.

Galafold indeholder det aktive stof migalastat.

### Hvordan anvendes Galafold?

Galafold udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge med erfaring i diagnosticering og behandling af Fabrys sygdom.

Galafold fås som kapsler (123 mg). Den anbefalede dosis af Galafold er én kapsel hver anden dag taget gennem munden mindst 2 timer før eller efter indtagelse af føde.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Galafold er kun til brug hos patienter med visse mutationer i alfa-galaktosidase A-genet. Yderligere oplysninger fremgår af produktresuméet, der ligeledes er en del af denne EPAR.

## Hvordan virker Galafold?

Det aktive stof i Galafold, migalastat, binder til visse ustabile former af alfa-galaktosidase A og stabiliserer derigennem enzymet. Derved kan enzymet blive transporteret ind i områder af cellen, hvor det kan nedbryde GL-3.

## Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Galafold?

Galafold blev undersøgt i to hovedundersøgelser, som omfattede i alt 127 patienter med Fabrys sygdom.

Den første undersøgelse, hvori Galafold blev sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling) hos 67 patienter, så nærmere på den andel af patienterne, der reagerede på behandlingen (defineret som et fald på mindst 50 % i GL-3-aflejninger i nyrerne). Overordnet set var Galafold ikke mere effektivt end placebo til at reducere GL-3-aflejninger; yderligere analyser, som kun omfattede patienter med de genmutationer, der kan behandles med Galafold, viste imidlertid, at disse patienter reagerede bedre på Galafold end på placebo efter 6 måneders behandling.

I den anden undersøgelse, hvori 60 patienter deltog, blev Galafold sammenlignet med lægemidlerne agalsidase alfa eller agalsidase beta, der er to behandlinger til erstatning af det manglende enzym. Det primære mål for virkningen var ændringen i patientens nyrefunktion efter 18 måneders behandling. I denne undersøgelse blev det påvist, at Galafold er lige så effektivt som enzymerstatningsbehandling til at stabilisere patientens nyrefunktion.

## Hvilke risici er der forbundet med Galafold?

Den mest almindelige bivirkning ved Galafold (som kan forekomme hos omkring 1 ud af 10 personer) er hovedpine.

Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger og begrænsninger ved Galafold fremgår af indlægssedlen.

## Hvorfor blev Galafold godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at fordelene ved Galafold opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU. Udvalget bemærkede, at selv om Galafold kun er undersøgt hos et begrænset antal patienter, anses den tilgængelige dokumentation for at være tilstrækkelig for en så sjældnen sygdom. CHMP bemærkede også, at Galafold tages gennem munden, og at dette kan være en fordel sammenlignet med andre godkendte behandlinger som f.eks. enzymerstatning, der gives via infusion (drop) i en blodåre. For så vidt angår sikkerheden, var Galafold veltolereret.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Galafold?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Galafold anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Galafold, herunder passende forholdsregler, som patienter og sundhedspersonale skal følge.

## Andre oplysninger om Galafold

Den fuldstændige EPAR for Galafold findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Galafold, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Galafold findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).