



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR, sažetak za javnost**

---

# Galafold

## migalastat

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Galafold. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o načinu primjene lijeka Galafold.

Praktične informacije o korištenju lijeka Galafold pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

### **Što je Galafold i za što se koristi?**

Galafold je lijek koji se koristi za liječenje bolesnika u dobi od 16 godina ili više koji boluju od Fabryjeve bolesti. Riječ je o rijetkom nasljednom poremećaju kod kojeg bolesnici boluju od raznih mutacija (promjena) gena odgovornog za proizvodnju enzima koji se naziva alfa-galaktozidaza A, koji obično razgrađuje masnu tvar koja se naziva globotriaosilceramid (GL-3). Taj enzim ne radi pravilno u bolesnika s Fabryjevom bolesti. Kao rezultat toga, GL-3 se ne može razgraditi te se nakuplja u raznim stanicama u tijelu, uključujući srce i bubrege.

Budući da postoji mali broj bolesnika koji boluju od Fabryjeve bolesti, bolest se smatra „rijetkom“ te se Galafold označava kao lijek za liječenje rijetkih bolesti od 22. svibnja 2006.

Galafold sadrži djelatnu tvar migalastat.

### **Kako se Galafold koristi?**

Galafold se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje bi trebao započeti i nadzirati samo liječnik iskusan u dijagnosticiranju i liječenju Fabryjeve bolesti.

Galafold je dostupan u obliku kapsula (123 mg). Preporučena doza lijeka Galafold jest jedna kapsula svaki drugi dan koja se uzima oralno najmanje 2 sata prije ili nakon obroka.

---

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 je namijenjen samo upotrebi u bolesnika s određenim mutacijama gena alfa-galaktozidaze A. Više informacija potražite u sažetku opisa svojstava lijeka (također dio EPAR-a).

## **Kako djeluje Galafold?**

Djelatna tvar u lijeku Galafold, migalastat, veže se za određene nestabilne oblike alfa-galaktozidaze A, stabilizirajući enzim. To omogućuje prijenos enzima u dijelove stanice gdje može razgraditi GL-3.

## **Koje su koristi lijeka Galafold utvrđene u ispitivanjima?**

Galafold je istraživao u dvama glavnim ispitivanjima u kojima je sudjelovalo ukupno 127 bolesnika s Fabryjevom bolešću.

U prvom se ispitivanju, u kojem je Galafold uspoređen s placebom (slijepo liječenje) u 67 bolesnika, promatrao udio bolesnika koji su pozitivno reagirali na liječenje (definirano kao smanjenje od najmanje 50 % u taloženju GL-3 u bubrezima). U cjelini, zaključeno je da Galafold nije učinkovitiji od placeba u smanjenju taloženja GL-3; međutim, dodatne analize koje su obuhvaćale samo bolesnike s onim genskim mutacijama koje se mogu liječiti lijekom Galafold pokazale su da bolesnici imaju bolju pozitivnu reakciju na Galafold nego li na placebo nakon 6 mjeseci liječenja.

Druga studija provedena na 60 bolesnika uspoređivala je Galafold s lijekovima agalidaza alfa ili agalidaza beta, dvama liječenjima koja zamjenjuju enzim koji nedostaje. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena funkcije bubrega u bolesnika nakon 18 mjeseci liječenja. U tom je ispitivanju zaključeno da je Galafold jednako učinkovit kao nadomještanje enzima pri stabiliziranju funkcije bubrega u bolesnika.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Galafold?**

Najčešća nuspojava lijeka Galafold (može se javiti u otprilike 1 na 10 osoba) jest glavobolja.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja zabilježenih pri primjeni lijeka Galafold potražite u uputi o lijeku.

## **Zašto je Galafold odobren?**

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi od lijeka Galafold nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za korištenje u Europskoj uniji. Odbor smatra da je Galafold ispitan na ograničenom broju bolesnika, međutim dostupni dokazi smatraju se dostatnima za liječenje tako rijetke bolesti. CHMP je također uočio da se Galafold uzima oralno te bi to moglo predstavljati prednost u usporedbi s drugim odobrenim liječenjima, kao što je nadomještanje enzima, koja se primjenjuju infuzijom (drip) u venu. U pogledu sigurnosti, pokazalo se da se Galafold dobro podnosi.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Galafold?**

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka Galafold. Na temelju tog plana, u sažetku opisa svojstava lijeka kao i u uputi o lijeku za lijek Galafold nalaze se sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati.

## Ostale informacije o lijeku Galafold

Cjeloviti EPAR za lijek Galafold nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o terapiji lijekom Galafold pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Galafold dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).