



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Galafold migalasztát

Ez a dokumentum a Galafold-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Galafold alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Galafold alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Galafold és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Galafold egy olyan gyógyszer, amelyet legalább 16 éves, Fabry-kórban szenvedő betegek kezelésére alkalmaznak. Ez egy ritka, örökletes betegség, amely esetén a betegeknél különböző mutációk (változások) vannak jelen az alfa-galaktozidáz A elnevezésű enzim termeléséért felelős génben. Ez az enzim normális esetben a globotriaoszil-ceramid (GL-3) nevű zsírvegyület lebontását végzi. A Fabry-kórban szenvedő betegeknél ez az enzim nem működik megfelelően. Ennek eredményeként a GL-3 nem képes lebomlani és felhalmozódik a szervezet különböző sejtjeiben, köztük a szívben és a vesékben.

Mivel a Fabry-kórban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Galafold-ot 2006. május 22-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A Galafold hatóanyaga a migalasztát.



Hogyan kell alkalmazni a Galafold-ot?

A Galafold csak receptre kapható, és a kezelést kizárólag a Fabry-kór diagnosztizálásában és kezelésében jártas orvos kezheti meg és felügyelheti.

A Galafold kapszula (123 mg) formájában kapható. A Galafold javasolt adagja kétnaponta egy kapszula szájon át, legalább 2 órával étkezés előtt vagy után.

A Galafold kizárólag az alfa-galaktozidáz A gén bizonyos mutációival rendelkező betegeknél alkalmazható. További információ a (szintén az EPAR részét képező) alkalmazási előírásban található.

Hogyan fejt ki hatását a Galafold?

A Galafold hatóanyaga, a migalasztát az alfa-galaktozidáz A bizonyos instabil formáihoz kötődik, és stabilizálja az enzimet. Ez lehetővé teszi, hogy az enzim eljusson a sejt azon részeire, ahol lebonthatja a GL-3-at.

Milyen előnyei voltak a Galafold alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Galafold-ot két fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyekben összesen 127, Fabry-kórban szenvedő beteg vett részt.

Az első vizsgálatban, amelyben a Galafold-ot placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze 67 beteg esetében, a kezelésre reagáló betegek arányát tanulmányozták (amelyet a vesében található GL-3 depozitumok legalább 50%-os csökkenésében határoztak meg). Összességében a Galafold-ot nem találták a placebónál hatásosabbnak a GL-3 depozitumok csökkentésében, azonban a kizárólag a Galafold-dal kezelhető mutációkkal rendelkező betegeket magukba foglaló, kiegészítő elemzések azt igazolták, hogy féléves kezelést követően a betegek jobban reagáltak a Galafold-ra, mint a placebóra.

A 60 beteggel végzett, második vizsgálatban a Galafold-ot két, a hiányzó enzimet pótló kezeléssel, agalzidáz-alfa vagy agalzidáz-béta gyógyszerekkel hasonlították össze. A hatásosság fő mércéje a betegek vesefunkciójának változása volt 18 hónapos kezelés után. Ebben a vizsgálatban a Galafold ugyanolyan hatásosnak bizonyult, mint az enzimpótló kezelés a betegek vesefunkciójának stabilizálásában.

Milyen kockázatokkal jár a Galafold alkalmazása?

A Galafold leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül körülbelül egynél jelentkezhet) a fejfájás.

A Galafold alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Galafold forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Galafold alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását. A bizottság megjegyezte, hogy a Galafold-ot korlátozott számú betegnél tanulmányozták, azonban a rendelkezésre álló bizonyítékokat elégségesnek tartották egy ilyen ritka betegség vonatkozásában. A CHMP továbbá megállapította, hogy a Galafold-ot szájon át kell szedni, és ez előnyt jelenthet az egyéb, engedélyezett kezelésekkel, például az enzimpótló kezeléssel szemben, amelyeket vénás infúzió formájában alkalmaznak. A biztonságosságot illetően a Galafold jól tolerálható volt.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Galafold biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Galafold lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Galafold-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

A Galafold-dal kapcsolatos egyéb információ

A Galafold-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Galafold-dal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Galafold-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).