



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Riassunto destinato al pubblico

Galafold

migalastat

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Galafold. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Galafold.

Per informazioni pratiche sull'uso di Galafold, i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Galafold?

Galafold è un medicinale usato per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a 16 anni con malattia di Fabry. Si tratta di una rara malattia ereditaria in cui i pazienti presentano varie mutazioni (variazioni) del gene responsabile della produzione di un enzima chiamato alfa-galattosidasi A, che normalmente scompone una sostanza grassa denominata globotriaosilceramide (GL-3). Nei pazienti con malattia di Fabry, questo enzima non funziona correttamente. Di conseguenza, il GL-3 non può essere scomposto e si accumula in varie cellule del corpo, tra cui le cellule cardiache e quelle renali.

Poiché il numero di pazienti affetti dalla malattia di Fabry è esiguo, la malattia è considerata "rara" e Galafold è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 22 maggio 2006.

Galafold contiene il principio attivo migalastat.

Come si usa Galafold?

Galafold può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato e monitorato da un medico esperto nella diagnosi e nel trattamento della malattia di Fabry.

Galafold è disponibile in capsule (123 mg). La dose raccomandata di Galafold è una capsula a giorni alterni, assunta per via orale almeno 2 ore prima o dopo il consumo di cibo.



Galafold deve essere usato solo nei pazienti che presentano determinate mutazioni del gene alfa-galattosidasi A. Per ulteriori informazioni, vedere il riassunto delle caratteristiche del prodotto (accluso all'EPAR).

Come agisce Galafold?

Galafold contiene il principio attivo migalastat, che si lega a determinate forme instabili dell'alfa-galattosidasi A, stabilizzando l'enzima. Questo consente all'enzima di essere trasportato nelle zone della cellula dove può scomporre il GL-3.

Quali benefici di Galafold sono stati evidenziati negli studi?

Galafold è stato analizzato in due studi principali condotti su un totale di 127 pazienti affetti dalla malattia di Fabry.

Il primo studio, che ha confrontato Galafold con il placebo (un trattamento fittizio) in 67 pazienti, ha valutato la percentuale di pazienti che hanno risposto al trattamento (definita come una riduzione di almeno il 50% dei depositi di GL-3 nei reni). In generale, Galafold non si è dimostrato più efficace del placebo nel ridurre i depositi di GL-3; tuttavia, altre analisi che hanno incluso solo i pazienti con quelle mutazioni genetiche che possono essere trattate con Galafold, hanno mostrato che i pazienti hanno risposto meglio a Galafold che al placebo dopo 6 mesi di trattamento.

Il secondo studio, su 60 pazienti, ha messo a confronto Galafold con le sostanze agalsidasi alfa e agalsidasi beta, due trattamenti sostitutivi dell'enzima mancante. La principale misura dell'efficacia era il cambiamento della funzionalità renale dei pazienti dopo 18 mesi di trattamento. In questo studio, Galafold si è dimostrato efficace quanto la terapia enzimatica sostitutiva nella stabilizzazione della funzionalità renale dei pazienti.

Quali sono i rischi associati a Galafold?

L'effetto indesiderato più comune di Galafold (che può riguardare circa 1 persona su 10) è la cefalea.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Galafold, vedere il foglio illustrativo.

Perché Galafold è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Galafold sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. Il comitato ha osservato che Galafold è stato studiato in un numero limitato di pazienti, tuttavia l'evidenza disponibile è considerata sufficiente per una malattia così rara. Il CHMP ha anche considerato che Galafold è assunto per via orale e questo potrebbe essere un vantaggio rispetto ad altri trattamenti autorizzati come la terapia enzimatica sostitutiva, che vengono somministrati per infusione (flebo) in una vena. Quanto alla sicurezza, Galafold è stato ben tollerato.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Galafold?

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Galafold sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Galafold sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Altre informazioni su Galafold

Per la versione completa dell'EPAR di Galafold, consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Galafold, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Galafold è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).