



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiamai visuomenei

Galafold

migalastatas

Šis dokumentas yra Galafold Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Galafold.

Praktinės informacijos apie Galafold vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Galafold ir kam jis vartojamas?

Galafold – tai vaistas, kuriuo gydomi 16 metų ir vyresni pacientai, sergantys Fabry liga. Tai yra retas paveldimas sutrikimas, dėl kurio pacientai turi įvairių geno, atsakingo už fermento, vadinamo alfa galaktosidaze A (jis paprastai skaido riebiąją medžiagą globotriaosilkeramidą (GL-3), gamybą, mutacijų. Fabry liga sergančių pacientų organizme šis fermentas veikia ne taip, kaip turėtų. Dėl to GL-3 nesuskaidomas ir jis kaupiasi įvairiose ląstelėse, įskaitant širdies ir inkstų ląsteles.

Kadangi Fabry liga sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, ir 2006 m. gegužės 22 d. Galafold buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Galafold sudėtyje yra veikliosios medžiagos migalastato.

Kaip vartoti Galafold?

Galafold galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turėtų pradėti ir prižiūrėti Fabry ligos diagnozavimo ir gydymo patirties turintis gydytojas.

Galafold tiekiamas kapsulių (123 mg) forma. Rekomenduojama Galafold dozė yra viena kapsulė, kurią reikia gerti kas antrą dieną, likus ne mažiau kaip 2 val. iki arba praėjus ne mažiau kaip 2 val. po valgymo.



Galafold skirtas tik tam tikrų alfa galaktosidazės A geno mutacijų turintiems pacientams. Daugiau informacijos rasite preparato charakteristikų santraukoje (taip pat EPAR dalis).

Kaip veikia Galafold?

Veiklioji Galafold medžiaga migalastatas jungiasi prie tam tikrų nestabilių formų alfa galaktosidazės A ir taip stabilizuoja šį fermentą. Tai suteikia galimybę fermentui patekti į tas ląstelės sritis, kuriose GL-3 galima suskaidyti.

Kokia Galafold nauda nustatyta tyrimuose?

Galafold buvo tiriamas atliekant du pagrindinius tyrimus, kuriuose dalyvavo iš viso 127 Fabry liga sergantys pacientai.

Atliekant pirmąjį tyrimą, kurio metu Galafold buvo lyginamas su placebo (netikru vaistu) gydant 67 pacientus, siekta nustatyti pacientų, kuriems pasireiškė atsakas į gydymą (t. y. GL-3 sankaupos inkstuose sumažėjo bent 50 proc.), dalį. Apskritai, nustatyta, kad Galafold nėra veiksmingesnis už placebo siekiant sumažinti GL-3 sankaupas; vis dėlto, atlikus papildomas analizes, į kurias buvo įtraukti tik tie pacientai, kurie turėjo tokias genetines mutacijas, kurias galima gydyti Galafold, nustatyta, kad po 6 gydymo mėnesių Galafold vartojusių pacientų atsakas į gydymą buvo geresnis, nei vartojusių placebo.

Atliekant antrąjį tyrimą, kuriame dalyvavo 60 pacientų, Galafold buvo lyginamas su agalsidaze alfa arba agalsidaze beta – dviem vaistais, kurie vartojami kaip trūkstamo fermento pakaitalas. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų inkstų funkcijos pokytis po 18 gydymo mėnesių. Atlikus šį tyrimą, nustatyta, kad Galafold toks pat veiksmingas kaip fermento pakaitalas siekiant stabilizuoti pacientų inkstų veiklą.

Kokia rizika siejama su Galafold vartojimu?

Dažniausias Galafold šalutinis reiškinys (galintis pasireikšti maždaug 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas.

Išsamų visų šalutinių reiškinų ir apribojimų, nustatytų vartojant Galafold, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Galafold buvo patvirtintas?

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Galafold nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES. Komitetas atkreipė dėmesį į tai, kad Galafold tyrimuose dalyvavo nedaug pacientų, tačiau tokios retos ligos atveju turimų duomenų pakanka. CHMP taip pat atkreipė dėmesį į tai, kad Galafold vartojamas per burną ir kad tai gali būti šio vaisto pranašumas prieš kitus jau įregistruotus vaistus, kaip antai fermento pakaitalą, kuris yra lašinamas į veną. Kalbant apie Galafold saugumą, šis vaistas buvo gerai toleruojamas.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Galafold vartojimą?

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Galafold vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Galafold preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Galafold

Išsamų Galafold EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą Galafold rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Galafold santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).