



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Galafold

migalastats

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Galafold*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir novērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu tās reģistrēt Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Galafold* lietošanu.

Lai iegūtu praktisku informāciju par *Galafold* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsazinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Galafold* un kāpēc tās lieto?

Galafold ir zāles, ko lieto Fābri slimības ārstēšanai pacientiem no 16 gadu vecuma. Tā ir reta iedzimta slimība, kad pacientiem ir dažādas mutācijas (izmaiņas) gēnā, kas atbild par enzīmu, ko dēvē par alfa-galaktozidāzi A, producēšanu, kas parasti noārda taukvielu, ko dēvē par globotriaozilceramīdu (GL-3). Pacientiem ar Fābri slimību šis enzīms nedarbojas pareizi. Tā rezultātā GL-3 nevar tikt noārdīts un tas uzkrājas vairākās organisma šūnās, tostarp, sirdī un nierēs.

Tā kā Fābri slimības pacientu skaits ir mazs, slimību uzskata par retu un 2006. gada 22. maijā *Galafold* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Galafold satur aktīvo vielu migalastātu.

Kā lieto *Galafold*?

Galafold var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana jānozīmē un jāuzrauga ārstam ar pieredzi Fābri slimības diagnostikā un ārstēšanā.

Galafold ir pieejamas kapsulās (123 mg). Ieteicamā *Galafold* deva ir viena kapsula katru otro dienu iekšķīgi vismaz 2 stundas pirms vai pēc ēšanas.



Galafold ir paredzētas lietošanai tikai pacientiem, kuru šūnām ir noteiktas mutācijas alfa-galaktozidāzes A gēnā. Papildu informācija ir pieejama zāļu aprakstā (kas arī ir *EPAR* daļa).

Kā *Galafold* darbojas?

Galafold aktīvā viela migalastats piesaistās pie noteiktām alfa-galaktozidāzes A nestabilām formām, stabilizējot enzīmu. Līdz ar to enzīms tiek transportēts uz šūnas rajoniem, kur tas var noārdīt GL-3.

Kādas bija *Galafold* priekšrocības šajos pētījumos?

Galafold iedarbīgumu pētīja divos pamatpētījumos, kopumā iesaistot 127 pacientus ar Fābri slimību.

Pirmajā pētījumā, kurā salīdzināja *Galafold* ar placebo (fiktīvu ārstēšanu) 67 pacientiem, novērtēja to pacientu daļu, kuri reaģēja uz ārstēšanu (to definēja kā GL-3 precipitāta samazinājumu nierēs vismaz par 50 %). Kopumā konstatēja, ka *Galafold* nebija iedarbīgākas par placebo GL-3 precipitāta samazināšanā. Tomēr papildu analīzes, kurās iesaistīja tikai tos pacientus, kuriem ar *Galafold* var ārstēt ģenētiskās mutācijas, uzrādīja, ka pēc sešu mēnešu ārstēšanas pacienti labāk reaģēja uz *Galafold* nekā placebo.

Otrajā pētījumā, iesaistot 60 pacientus, salīdzināja *Galafold* ar alfa-agalzidāzi vai beta-agalzidāzi saturošām zālēm, t. i., divām ārstēšanas metodēm, ar kurām aizvieto trūkstošo enzīmu. Galvenais efektivitātes rādītājs bija izmaiņas pacientu nieru darbībā pēc 18 nedēļu ārstēšanās. Šajā pētījumā konstatēja, ka *Galafold* bija tikpat efektīvas kā enzīma aizstājējs, stabilizējot pacientu nieru darbību.

Kāds risks pastāv, lietojot *Galafold*?

Visbiežāk novērotās *Galafold* blakusparādības (var ietekmēt apmēram 1 no 10 pacientiem) ir galvassāpes.

Pilns visu *Galafold* izraisīto blakusparādību un ierobežojumu saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Galafold* tika apstiprinātas?

CHMP nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot *Galafold*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību lietošanai ES. Komiteja norādīja, ka, lai gan *Galafold* tika pētītas ierobežotam skaitam pacientu, tomēr pieejamie dati šādai retai slimībai ir uzskatāmi par pietiekamiem. *CHMP* arī atzīmēja, ka *Galafold* lieto iekšķīgi, kas varētu būt zāļu lietošanas priekšrocība salīdzinājumā ar citiem atļautiem ārstēšanas veidiem, piemēram, enzīmu aizstājterapijas zālēm, ko ievada infūzijas (pilienu) veidā vēnā. Attiecībā uz drošumu, *Galafold* bija labi panesamas.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu *Galafold* lietošanu?

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *Galafold* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, *Galafold* zāļu aprakstā ir ietverta drošuma informācija, kā arī lietošanas instrukcija, tostarp, attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Cita informācija par *Galafold*

Pilns *Galafold* EPAR teksts ir atrodams Aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Galafold* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Galafold* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).