



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

# Galafold

## migalastate

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Galafold. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Galafold.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Galafold, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

### O que é o Galafold e para que é utilizado?

O Galafold é um medicamento utilizado no tratamento da doença de Fabry em doentes com idade igual ou superior a 16 anos. Trata-se de uma doença hereditária rara em que os doentes possuem várias mutações (alterações) no gene responsável pela produção de uma enzima denominada alfa-galactosidase A, que normalmente decompõe uma gordura denominada globotriaosilceramida (GL-3). Nos indivíduos com a doença de Fabry, esta enzima não funciona corretamente. Como resultado, não é possível decompor a GL-3 e esta acumula-se em diversas células do organismo, incluindo o coração e os rins.

Dado o número de doentes afetados pela doença de Fabry ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Galafold foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 22 de maio de 2006.

O Galafold contém a substância ativa migalastate.

### Como se utiliza o Galafold?

O Galafold só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento só deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no diagnóstico e tratamento da doença de Fabry.



O Galafold está disponível na forma de cápsulas (123 mg). A dose recomendada de Galafold é de uma cápsula em dias alternados, tomada por via oral, pelo menos 2 horas antes ou depois da ingestão de alimentos.

O Galafold só está indicado para uso em doentes que possuam determinadas mutações no gene alfa-galactosidase A. Para mais informações, consultar o Resumo das Características do Medicamento (também parte do EPAR).

## **Como funciona o Galafold?**

A substância ativa do Galafold, o migalastate, liga-se a determinadas formas instáveis de alfa-galactosidase A, estabilizando a enzima. Isto permite que a enzima seja transportada para áreas da célula onde pode decompor a GL-3.

## **Quais os benefícios demonstrados pelo Galafold durante os estudos?**

O Galafold foi investigado em dois estudos principais que incluíram um total de 127 indivíduos com doença de Fabry.

O primeiro estudo, que comparou o Galafold com um placebo (tratamento simulado) em 67 doentes, analisou a percentagem de doentes que responderam ao tratamento (definida como uma redução de pelo menos 50 % nos depósitos de GL-3 nos rins). Globalmente, o Galafold não demonstrou ser mais eficaz do que o placebo na redução dos depósitos de GL-3; contudo, análises adicionais que incluíram apenas os doentes com as mutações genéticas que podem ser tratadas com o Galafold demonstraram uma melhor resposta dos doentes ao Galafold do que ao placebo após 6 meses de tratamento.

O segundo estudo, que incluiu 60 doentes, comparou o Galafold com os medicamentos agalsidase alfa ou agalsidase beta (dois tratamentos que repõem a enzima em falta). O principal parâmetro de eficácia foi a alteração na função renal dos doentes após 18 meses de tratamento. Neste estudo, o Galafold demonstrou ser tão eficaz como a reposição enzimática na estabilização da função renal dos doentes.

## **Quais são os riscos associados ao Galafold?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Galafold (que podem afetar cerca de 1 em cada 10 pessoas) são dores de cabeça.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização relativamente ao Galafold, consulte o Folheto Informativo.

## **Por que foi aprovado o Galafold?**

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Galafold são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE. O Comité referiu que o Galafold foi estudado num número limitado de doentes, mas considerou que as evidências disponíveis são suficientes para esta doença rara. O CHMP constatou também que o Galafold é tomado por via oral, o que poderá constituir uma vantagem em comparação com outros tratamentos autorizados, como a reposição enzimática, que são administrados por perfusão (gota a gota) numa veia. Quanto à segurança, o Galafold foi bem tolerado.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Galafold?**

Foi desenvolvido um plano de gestão dos riscos para garantir a utilização segura do Galafold. Com base neste plano, foram incluídas informações de segurança no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo do Galafold, incluindo as precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes.

## **Outras informações sobre o Galafold**

O EPAR completo relativo ao Galafold pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Galafold, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Galafold pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).