



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Galafold

migalastat

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Galafold. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Galafold.

Pentru informații practice privind utilizarea Galafold, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Galafold și pentru ce se utilizează?

Galafold este un medicament folosit pentru tratamentul pacienților în vârstă de cel puțin 16 ani care suferă de boala Fabry. Aceasta este o tulburare ereditară rară în care pacienții au diferite mutații (modificări) în gena responsabilă de producerea unei enzime numite alfa-galactozidază A, care în mod normal descompune o substanță grasă numită globotriaosilceramidă (GL-3). La pacienții cu boală Fabry această enzimă nu funcționează corespunzător. Prin urmare, GL-3 nu poate fi descompusă și se acumulează în diferite celule din organism, inclusiv la nivelul inimii și al rinichilor.

Din cauza numărului mic de pacienți cu boală Fabry, boala este considerată „rară”, iar Galafold a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 22 mai 2006.

Galafold conține substanța activă migalastat.

Cum se utilizează Galafold?

Galafold se poate obține numai pe bază de rețetă, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat doar de un medic cu experiență în diagnosticul și tratamentul bolii Fabry.

Galafold este disponibil sub formă de capsule (123 mg). Doza de Galafold recomandată este de o capsulă o dată la două zile, administrată oral cu cel puțin 2 ore înainte sau după masă.



Galafold este destinat exclusiv tratării pacienților cu anumite mutații ale genei alfa-galactozidază A. Pentru mai multe informații, consultați Rezumatul caracteristicilor produsului (care face parte, de asemenea, din EPAR).

Cum acționează Galafold?

Substanța activă din Galafold, migalastatul, se leagă de anumite forme instabile de alfa-galactozidază A, stabilizând enzima. Aceasta permite ca enzima să fie transportată în zone ale celulei în care poate să descompună GL-3.

Ce beneficii a prezentat Galafold pe parcursul studiilor?

Galafold a fost evaluat în două studii principale la care au participat în total 127 de pacienți cu boala Fabry.

Primul studiu, care a comparat Galafold cu placebo (un preparat inactiv) la 67 de pacienți, a analizat procentul de pacienți care au răspuns la tratament (răspunsul fiind definit ca o reducere de cel puțin 50 % a depunerilor de GL-3 la nivelul rinichilor). Per ansamblu, Galafold nu s-a dovedit a fi mai eficace decât placebo în privința reducerii depunerilor de GL-3; însă analizele suplimentare efectuate numai la pacienții cu mutații genetice care pot fi tratate cu Galafold au arătat că, după 6 luni de tratament, aceștia au răspuns mai bine la tratamentul cu Galafold decât la placebo.

Al doilea studiu, care a cuprins 60 de pacienți, a comparat Galafold cu medicamentele agalozidază alfa sau agalozidază beta, două tratamente care înlocuiesc enzima lipsă. Principala măsură a eficacității a fost modificarea funcției renale a pacienților după 18 luni de tratament. În acest studiu, Galafold s-a dovedit a fi la fel de eficace ca substituția enzimatică în privința stabilizării funcției renale a pacienților.

Care sunt riscurile asociate cu Galafold?

Cel mai frecvent efect secundar asociat cu Galafold (care poate afecta aproximativ 1 persoană din 10) este durerea de cap.

Pentru lista completă a efectelor secundare raportate și a restricțiilor asociate cu Galafold, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat Galafold?

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Galafold sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE. Comitetul a observat că Galafold a fost studiat la un număr limitat de pacienți; cu toate acestea, dovezile disponibile sunt considerate suficiente pentru o astfel de boală rară. De asemenea, CHMP a remarcat că Galafold se administrează pe cale orală, iar acest lucru ar putea fi un avantaj în comparație cu alte tratamente autorizate, cum ar fi substituția enzimatică, care se administrează prin perfuzie intravenoasă (picurare în venă). În ceea ce privește siguranța, Galafold a fost bine tolerat.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Galafold?

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Galafold să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Galafold au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Alte informații despre Galafold

EPAR-ul complet pentru Galafold este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Galafold, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Galafold este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).