



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Galafold

migalastat

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Galafold. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Galafold ska användas.

Praktisk information om hur Galafold ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Galafold och vad används det för?

Galafold är ett läkemedel som används för att behandla patienter från 16 års ålder med Fabrys sjukdom. Detta är en sällsynt ärftlig sjukdom vid vilken patienterna har olika mutationer (förändringar) i genen som ansvarar för att producera ett enzym som kallas alfa-galaktosidas A, vilket vanligtvis bryter ner en fettsubstans som kallas globotriaosylceramid (GL-3). Hos patienter med Fabrys sjukdom fungerar inte detta enzym som det ska. Detta gör att GL-3 inte kan brytas ner utan inlagras i olika celler i kroppen, bland annat i hjärtat och njurarna.

Eftersom antalet patienter med Fabrys sjukdom är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Galafold klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 22 maj 2006.

Galafold innehåller den aktiva substansen migalastat.

Hur används Galafold?

Galafold är receptbelagt och behandling ska endast påbörjas och övervakas av en läkare med erfarenhet av diagnostisering och behandling av Fabrys sjukdom.

Galafold finns som kapslar (123 mg). Den rekommenderade dosen Galafold är en kapsel varannan dag, som tas genom munnen minst 2 timmar före eller efter måltid.



Galafold får endast ges till patienter med vissa bestämda mutationer i alfa-galaktosidas A-genen. Mer information finns i produktresumén (ingår också i EPAR).

Hur verkar Galafold?

Den aktiva substansen i Galafold, migalastat, binder till vissa instabila former av alfa-galaktosidas A, som stabiliserar enzymet. Detta gör att enzymet kan transporteras till områden i cellen där det kan bryta ner GL-3.

Vilken nytta med Galafold har visats i studierna?

Galafold har undersökts i två huvudstudier på sammanlagt 127 patienter med Fabrys sjukdom.

I den första studien, där Galafold jämfördes med placebo (en överksam behandling) hos 67 patienter, undersöktes andelen patienter som svarade på behandling (vilket definieras som en minskning på minst 50 procent av GL-3-inlagringarna i njurarna). Totalt sett befanns Galafold inte vara effektivare än placebo när det gäller att minska GL-3-inlagringarna; men ytterligare analyser som endast innefattade patienter med de genetiska mutationer som kan behandlas med Galafold visade att patienterna svarade bättre på Galafold än på placebo efter 6 månaders behandling.

I den andra studien på 60 patienter jämfördes Galafold med läkemedlen agalsidas alfa eller agalsidas beta, två behandlingar som ersätter det saknade enzymet. Huvudmättet på effekt var förändringen av patienternas njurfunktion efter 18 månaders behandling. I denna studie var Galafold lika effektivt som enzymsättning när det gäller att stabilisera patienternas njurfunktion.

Vilka är riskerna med Galafold?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Galafold (kan uppträda hos omkring 1 av 10 personer) är huvudvärk.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Galafold finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Galafold?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Galafold är större än riskerna och rekommenderade att Galafold skulle godkännas för försäljning i EU. Kommittén noterade att Galafold hade undersökts på ett begränsat antal patienter, men att de tillgängliga beläggen anses tillräckliga för denna sällsynta sjukdom. CHMP noterade även att Galafold tas genom munnen och att detta kan vara en fördel jämfört med andra godkända behandlingar såsom enzymsättning som ges genom infusion (dropp) i en ven. Vad gäller säkerheten tolererades Galafold väl.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Galafold?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Galafold används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Galafold. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Mer information om Galafold

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Galafold finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Galafold från kommittén för sällsynta sjukdomar finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.