



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/378245/2021
EMA/H/C/004059

Galafold (μιγαλασάτη)

Ανασκόπηση του Galafold και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Galafold και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Galafold είναι ένα φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών ηλικίας 12 ετών και άνω που πάσχουν από τη νόσο Fabry. Πρόκειται για μια σπάνια κληρονομική διαταραχή κατά την οποία οι ασθενείς παρουσιάζουν διάφορες μεταλλάξεις (αλλαγές) στο γονίδιο που είναι υπεύθυνο για την παραγωγή του ενζύμου άλφα-γαλακτοσιδάση. Το ένζυμο αυτό φυσιολογικά διασπά μια λιπώδη ουσία που ονομάζεται σφαιροτριοζυλοκεραμίδιο (GL-3). Λόγω των μεταλλάξεων, το ένζυμο δεν λειτουργεί σωστά και δεν μπορεί να διασπάσει την GL-3, η οποία συσσωρεύεται έτσι σε διάφορα κύτταρα του οργανισμού, μεταξύ άλλων στην καρδιά και τα νεφρά.

Η νόσος Fabry είναι «σπάνια» και το Galafold χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 22 Μαΐου 2006. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Το Galafold περιέχει τη δραστική ουσία μιγαλασάτη.

Πώς χρησιμοποιείται το Galafold;

Το Galafold χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η θεραπεία πρέπει να ξεκινάει και να πραγματοποιείται υπό την επίβλεψη ιατρού με πείρα στη διάγνωση και τη θεραπεία της νόσου Fabry.

Το Galafold διατίθεται υπό μορφή καψακίων. Η συνιστώμενη δόση του Galafold είναι ένα καψάκιο κάθε δεύτερη ημέρα. Οι ασθενείς δεν πρέπει να καταναλώνουν τροφή τουλάχιστον 2 ώρες πριν και 2 ώρες μετά τη λήψη του Galafold, ώστε να μπορεί το φάρμακο να απορροφηθεί πλήρως.

Το Galafold προορίζεται μόνο για χρήση σε ασθενείς με συγκεκριμένες μεταλλάξεις του γονιδίου άλφα-γαλακτοσιδάση Α. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Galafold, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.



Πώς δρα το Galafold;

Η δραστική ουσία του Galafold, η μιγαλασπάτη, δεσμεύεται σε συγκεκριμένες ασταθείς μορφές του ενζύμου άλφα-γαλακτοσιδάση Α και το σταθεροποιεί. Συνεπώς, το ένζυμο μπορεί να μεταφερθεί σε άλλες περιοχές του κυττάρου όπου μπορεί να διασπάσει την GL-3.

Ποια είναι τα οφέλη του Galafold σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Galafold μελετήθηκε σε δύο βασικές μελέτες, στις οποίες συμμετείχαν συνολικά 127 ασθενείς ηλικίας άνω των 16 ετών με νόσο Fabry.

Στην πρώτη μελέτη, στην οποία το Galafold συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε 67 ασθενείς, εξετάστηκε το ποσοστό των ασθενών που ανταποκρίθηκαν στη θεραπεία (στόχος ήταν η μείωση κατά τουλάχιστον 50% των εναποθέσεων GL-3 στους νεφρούς). Γενικά, το Galafold δεν αποδείχθηκε πιο αποτελεσματικό από το εικονικό φάρμακο στη μείωση των εναποθέσεων GL-3. Ωστόσο, επιπλέον αναλύσεις που περιλάμβαναν μόνο ασθενείς με γενετικές μεταλλάξεις που μπορούν να αντιμετωπιστούν με Galafold κατέδειξαν ότι οι ασθενείς παρουσίασαν καλύτερη ανταπόκριση στο Galafold σε σχέση με το εικονικό φάρμακο μετά από 6 μήνες θεραπείας.

Στη δεύτερη μελέτη που πραγματοποιήθηκε σε 60 ασθενείς, έγινε σύγκριση του Galafold με τα φάρμακα αγκασιδάση άλφα ή αγκασιδάση βήτα, δύο θεραπείες ενζυμικής υποκατάστασης για το ένζυμο που λείπει. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή στη λειτουργία των νεφρών του ασθενούς μετά από 18 μήνες θεραπείας. Σε αυτήν τη μελέτη, το Galafold αποδείχθηκε εξίσου αποτελεσματικό με τη θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης στη σταθεροποίηση της νεφρικής λειτουργίας των ασθενών.

Η εταιρεία υπέβαλε επίσης τα αποτελέσματα μιας μελέτης που έδειξε ότι το Galafold παράγει τα ίδια επίπεδα της δραστικής ουσίας στον οργανισμό και έχει την ίδια επίδραση σε εφήβους ηλικίας 12 έως και 15 ετών όπως και σε ενήλικες και νέους ηλικίας 16 ετών και άνω.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Galafold;

Η συχνότερη ανεπιθύμητη ενέργεια του Galafold (ενδέχεται να εμφανιστεί σε περίπου 1 στα 10 άτομα) είναι ο πονοκέφαλος.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Galafold περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Galafold στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αποφάσισε ότι τα οφέλη του Galafold υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ. Ο Οργανισμός επισήμανε ότι το Galafold μελετήθηκε σε περιορισμένο αριθμό ασθενών, ωστόσο τα διαθέσιμα στοιχεία θεωρούνται επαρκή για μια τόσο σπάνια νόσο. Ο Οργανισμός επισήμανε επίσης ότι το Galafold λαμβάνεται από το στόμα και αυτό αποτελεί πλεονέκτημα σε σύγκριση με άλλες εγκεκριμένες θεραπείες, όπως η θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης, οι οποίες χορηγούνται με ενδοφλέβια έγχυση. Όσον αφορά την ασφάλεια, το Galafold ήταν καλά ανεκτό.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Galafold;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους

επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Galafold.

Λοιπές πληροφορίες για το Galafold

Το Galafold έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 26 Μαΐου 2016.

Περισσότερες πληροφορίες για το Galafold διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Τελευταία επικαιροποίηση της ανασκόπησης: 07-2021.