



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Galafold (*migalastatum*)

Přehled pro přípravek Galafold a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Galafold a k čemu se používá?

Galafold je léčivý přípravek, který se používá k léčbě pacientů ve věku od 12 let s Fabryho nemocí. Jedná se o vzácné dědičné onemocnění, při kterém vykazují pacienti různé mutace (změny) v genu odpovědném za tvorbu enzymu zvaného alfa-galaktosidáza A, který za normálních okolností odbourává tukovou látku zvanou globotriaosylceramid (GL-3). V důsledku těchto mutací enzym řádně nefunguje a nedokáže odbourávat GL-3. To vede k hromadění GL-3 v různých buňkách těla, včetně srdce a ledvin.

Fabryho nemoc je vzácné onemocnění a přípravek Galafold byl označen dne 22. května 2006 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Přípravek Galafold obsahuje léčivou látku migalastat.

Jak se přípravek Galafold používá?

Výdej přípravku Galafold je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat výhradně lékař, který má zkušenosti s diagnostikou a léčbou Fabryho nemoci.

Přípravek Galafold je dostupný ve formě tobolek. Doporučená dávka přípravku Galafold je jedna tobolek jednou za dva dny. Pacienti by alespoň 2 hodiny před užitím a 2 hodiny po užití přípravku Galafold neměli jíst, aby se mohl plně vstřebat.

Přípravek Galafold se používá pouze u pacientů s určitými mutacemi v genu vytvářejícím alfa-galaktosidázu A. Více informací o používání přípravku Galafold naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Galafold působí?

Léčivá látka v přípravku Galafold, migalastat, se váže na určité nestálé formy alfa-galaktosidázy A a tím je stabilizuje. To umožňuje přenesení tohoto enzymu do oblastí buňky, kde může odbourávat GL-3.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Jaké přínosy přípravku Galafold byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Galafold byl zkoumán ve dvou hlavních studiích, do kterých bylo zařazeno celkem 127 pacientů ve věku od 16 let s Fabryho nemocí.

První studie, která porovnávala přípravek Galafold s placebem (neúčinným přípravkem) u 67 pacientů, zkoumala podíl pacientů, kteří reagovali na léčbu (což bylo definováno jako alespoň 50% snížení usazenin GL-3 v ledvinách). Z hlediska snížení usazenin GL-3 nebyla celkově prokázána vyšší účinnost přípravku Galafold ve srovnání s placebem. Z dalších analýz zahrnujících pouze pacienty s genetickými mutacemi, které lze léčit přípravkem Galafold, nicméně vyplývá, že pacienti po 6 měsících léčby reagovali lépe na přípravek Galafold než na placebo.

Ve druhé studii, do které bylo zařazeno 60 pacientů, byl přípravek Galafold porovnáván s agalsidázou alfa nebo agalsidázou beta, dvěma léčivými, která nahrazují chybějící enzym. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna funkce ledvin u pacientů po 18 měsících léčby. V této studii měl přípravek Galafold z hlediska stabilizace funkce ledvin u pacientů srovnatelnou účinnost jako enzymová substituční terapie.

Společnost rovněž předložila výsledky studie, která prokázala, že přípravek Galafold u dospívajících ve věku od 12 do 15 let včetně vytváří v těle stejné hladiny léčivé látky a má stejný účinek jako u dospělých a mladých lidí ve věku od 16 let.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Galafold?

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Galafold (který může postihnout přibližně 1 osobu z 10) je bolest hlavy.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Galafold je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Galafold registrován v EU?

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Galafold převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU. Agentura konstatovala, že přípravek Galafold byl zkoumán u omezeného počtu pacientů, u tak vzácného onemocnění se však dostupné důkazy považují za dostačující. Agentura rovněž upozornila na to, že přípravek Galafold se užívá ústy, což může být přínosné ve srovnání s jinými schválenými léčbami, jako je enzymová substituční terapie, které se podávají infuzí (kapáním) do žíly. Pokud jde o bezpečnost, je přípravek Galafold dobře snášen.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Galafold?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Galafold, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Galafold

Přípravku Galafold bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 26. května 2016.

Další informace o přípravku Galafold jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 07-2021.