



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Galafold

migalastatum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Galafold. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytovat praktické rady o tom, jak přípravek Galafold používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Galafold, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Galafold a k čemu se používá?

Galafold je léčivý přípravek, který se používá k léčbě pacientů ve věku od 16 let trpících Fabryho nemocí. Jedná se o vzácné dědičné onemocnění, kdy mají pacienti různé mutace (změny) v genu zodpovědném za tvorbu enzymu zvaného alfa-galaktosidáza A, který za normálních okolností odbourává tukovou látku zvanou globotriaosylceramid (GL-3). U pacientů s Fabryho nemocí nepracuje tento enzym správně. V důsledku toho nemůže být GL-3 odbouráván a hromadí se v různých buňkách těla včetně srdce a ledvin.

Jelikož počet pacientů s Fabryho nemocí je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Galafold byl dne 22. května 2006 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Galafold obsahuje léčivou látku migalastat.

Jak se přípravek Galafold používá?

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

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Přípravek Galafold je dostupný ve formě tobolek (123 mg). Doporučená dávka přípravku Galafold je jedna tableta obden a užívá se ústy alespoň 2 hodiny před nebo po jídle.

Přípravek Galafold se používá pouze u pacientů s určitými mutacemi v genu alfa-galaktosidáza A. Další informace naleznete v souhrnu údajů o přípravku (rovněž součástí zprávy EPAR).

Jak přípravek Galafold působí?

Léčivá látka v přípravku Galafold, migalastat, se váže na určité nestálé formy alfa-galaktosidázy A, čímž dochází k jejich stabilizaci. To umožňuje, aby byl enzym přenesen do oblastí buňky, kde může odbourávat GL-3.

Jaké přínosy přípravku Galafold byly prokázány v průběhu studií?

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

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

Ve druhé studii u 60 pacientů byl přípravek Galafold porovnáván s léčivými přípravky agalsidáza alfa nebo agalsidáza beta, což jsou dva přípravky nahrazující chybějící enzym. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna funkce ledvin u pacientů po 18 týdnech léčby. V této studii s ohledem na stabilizaci funkce ledvin u pacientů měl přípravek Galafold srovnatelnou účinnost jako enzymová substituční terapie.

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 souvisejících s přípravkem Galafold je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Galafold schválen?

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury rozhodl, že přínosy přípravku Galafold převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU. Výbor poznamenal, že přípravek Galafold byl zkoumán u omezeného počtu pacientů, nicméně u tak vzácného onemocnění se dostupné důkazy považují za dostačující. Výbor CHMP rovněž upozornil na to, že se přípravek Galafold užívá ústy, a tato skutečnost může být přínosem ve srovnání s ostatními 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?

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Galafold byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Galafold zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci i pacienti.

Další informace o přípravku Galafold

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Galafold je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Galafold naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Galafold vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).