



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Galafold (*Migalastat*)

Übersicht über Galafold und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Galafold und wofür wird es angewendet?

Galafold ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Patienten ab 12 Jahren mit Morbus Fabry. Morbus Fabry ist eine seltene Erbkrankheit, bei der die Patienten im Gen, das für die Bildung eines Enzyms namens α -Galactosidase verantwortlich ist, verschiedene Mutationen (Veränderungen) aufweisen. Dieses Enzym baut normalerweise eine Fettsubstanz, das sogenannte Globotriaosylceramid (GL-3), ab. Durch die Mutationen ist die Funktionsweise des Enzyms gestört und es kann GL-3 nicht abbauen. Dies führt zu einer Anhäufung von GL-3 in verschiedenen Zellen im Körper, einschließlich des Herzens und der Nieren.

Morbus Fabry ist „selten“, und Galafold wurde am 22. Mai 2006 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Galafold enthält den Wirkstoff Migalastat.

Wie wird Galafold angewendet?

Galafold ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte nur von einem in der Diagnose und Behandlung von Morbus Fabry erfahrenen Arzt eingeleitet und überwacht werden.

Galafold ist als Kapseln erhältlich. Die empfohlene Dosis von Galafold beträgt eine Kapsel jeden zweiten Tag. Die Patienten sollten mindestens 2 Stunden vor und 2 Stunden nach der Einnahme von Galafold keine Nahrung zu sich nehmen, um eine vollständige Resorption zu ermöglichen.

Galafold ist nur zur Anwendung bei Patienten mit bestimmten Mutationen im Gen α -Galactosidase A bestimmt. Weitere Informationen zur Anwendung von Galafold entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Galafold?

Der Wirkstoff in Galafold, Migalastat, bindet an bestimmte instabile Formen der α -Galaktosidase A und stabilisiert das Enzym. Dadurch kann das Enzym in Bereiche der Zelle transportiert werden, in denen es GL-3 abbauen kann.

Welchen Nutzen hat Galafold in den Studien gezeigt?

Galafold wurde in zwei Hauptstudien bei insgesamt 127 Patienten über 16 Jahren mit Morbus Fabry untersucht.

In der ersten Studie, in der Galafold mit Placebo (einer Scheinbehandlung) bei 67 Patienten verglichen wurde, wurde der Anteil der Patienten untersucht, die auf die Behandlung ansprachen (definiert als eine Reduzierung der GL-3-Ablagerungen in den Nieren um mindestens 50 %). Insgesamt erwies sich Galafold bei der Reduzierung der GL-3-Ablagerungen als nicht wirksamer als Placebo; zusätzliche Analysen, die nur Patienten mit jenen genetischen Mutationen umfassten, die mit Galafold behandelt werden können, zeigten jedoch, dass die Patienten nach 6-monatiger Behandlung besser auf Galafold ansprachen als auf Placebo.

In der zweiten Studie, an der 60 Patienten teilnahmen, wurde Galafold mit den Arzneimitteln Agalsidase alfa oder Agalsidase beta verglichen, zwei Behandlungen, die das fehlende Enzym ersetzen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung der Nierenfunktion der Patienten nach 18-monatiger Behandlung. In dieser Studie erwies sich Galafold bei der Stabilisierung der Nierenfunktion der Patienten als ebenso wirksam wie eine Enzymersatztherapie.

Das Unternehmen legte außerdem Ergebnisse einer Studie vor, in der gezeigt wurde, dass Galafold dieselben Konzentrationen des Wirkstoffs im Körper produziert und dieselbe Wirkung bei Jugendlichen im Alter von 12 bis einschließlich 15 Jahren wie bei Erwachsenen und jungen Menschen ab 16 Jahren hat.

Welche Risiken sind mit Galafold verbunden?

Eine sehr häufige Nebenwirkung von Galafold (die etwa 1 von 10 Behandelten betreffen kann) sind Kopfschmerzen.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Galafold berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Galafold in der EU zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Galafold gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann. Die Agentur stellte fest, dass Galafold bei einer begrenzten Anzahl von Patienten untersucht wurde, die verfügbaren Daten jedoch für eine solch seltene Erkrankung als ausreichend erachtet werden. Die Agentur stellte ferner fest, dass Galafold oral eingenommen wird und dies im Vergleich zu anderen zugelassenen Behandlungen, wie z. B. Enzymersatz, die als Infusion (Tropf) in eine Vene verabreicht werden, einen Vorteil darstellen könnte. In Bezug auf die Sicherheit ist festzustellen, dass Galafold gut vertragen wurde.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Galafold ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Galafold, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Galafold

Galafold erhielt am 26. Mai 2016 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Galafold finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Diese Übersicht wurde zuletzt im 07-2021 aktualisiert.