



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Galafold

Migalastat

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Galafold. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Galafold zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Galafold benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Galafold und wofür wird es angewendet?

Galafold ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Patienten ab 16 Jahren mit Morbus Fabry. Dabei handelt es sich um eine seltene Erbkrankheit, bei der die Patienten im Gen zur Herstellung eines Enzyms mit der Bezeichnung Alpha-Galaktosidase A, das normalerweise einen als Globotriaosylceramid (GL-3) bezeichneten Fettstoff abbaut, verschiedene Mutationen (Veränderungen) aufweisen. Bei Patienten mit Morbus Fabry ist die Funktionsweise dieses Enzyms gestört. Daher kann GL-3 nicht abgebaut werden und lagert sich in verschiedenen Zellen im Körper ab, unter anderem im Herz und in den Nieren.

Da es nur wenige Patienten mit Morbus Fabry gibt, gilt die Krankheit als selten, und Galafold wurde am 22. Mai 2006 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Es enthält den Wirkstoff Migalastat.



Wie wird Galafold angewendet?

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

Galafold ist als Kapseln (123 mg) erhältlich. Die empfohlene Dosis von Galafold beträgt eine Kapsel alle zwei Tage, die mindestens 2 Stunden vor oder frühestens 2 Stunden nach einer Mahlzeit einzunehmen ist.

Galafold ist nur für die Anwendung bei Patienten mit bestimmten Mutationen im Alpha-Galaktosidase-A-Gen bestimmt. Nähere Informationen sind der Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels (ebenfalls Teil des EPAR) zu entnehmen.

Wie wirkt Galafold?

Der Wirkstoff in Galafold, Migalastat, bindet an bestimmte instabile Formen von Alpha-Galaktosidase A, wodurch das Enzym stabilisiert wird. Dadurch kann das Enzym an die Orte in der Zelle transportiert werden, wo es GL-3 abbauen kann.

Welchen Nutzen hat Galafold in den Studien gezeigt?

Galafold wurde in zwei Hauptstudien bei insgesamt 127 Patienten 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 mit Ansprechen auf die Behandlung (definiert als Reduzierung der GL-3-Ablagerungen in den Nieren um mindestens 50 %) untersucht. Insgesamt betrachtet, erwies sich Galafold hinsichtlich der Reduzierung der GL-3-Ablagerungen nicht als wirksamer als Placebo; zusätzliche Analysen, die nur bei Patienten mit solchen genetischen Mutationen durchgeführt wurden, die mit Galafold behandelt werden können, ergaben jedoch, dass die Patienten nach 6-monatiger Behandlung auf Galafold besser ansprachen als auf Placebo.

Die zweite Studie bei 60 Patienten verglich Galafold mit den Wirkstoffen Agalsidase alfa oder Agalsidase beta, zwei Therapien zum Ersatz des fehlenden Enzyms. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung der Nierenfunktion der Patienten nach einer 18-monatigen Behandlung. In dieser Studie erwies sich Galafold hinsichtlich der Stabilisierung der Nierenfunktion der Patienten als genauso wirksam wie die Enzymersatztherapie.

Welche Risiken sind mit Galafold verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Galafold (, die etwa 1 von 10 Personen betreffen können,) sind Kopfschmerzen.

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

Warum wurde Galafold zugelassen?

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Galafold gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen. Der Ausschuss stellte fest, dass Galafold bei einer begrenzten Anzahl von Patienten untersucht worden ist, erachtete die vorliegenden Daten jedoch als ausreichend für eine solch seltene Krankheit. Der CHMP stellte zudem fest, dass Galafold zum Einnehmen bestimmt ist, was gegenüber

anderen zugelassenen Behandlungen, wie etwa der Enzyersatztherapie, die als Infusion (Tropf) in eine Vene verabreicht wird, einen Vorteil darstellen könnte. Im Hinblick auf die Sicherheit lässt sich feststellen, dass Galafold gut vertragen wird.

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

Es wurde ein Risikomanagementplan entwickelt, um sicherzustellen, dass Galafold so sicher wie möglich angewendet wird. Auf der Grundlage dieses Plans wurden Sicherheitsinformationen in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage für Galafold aufgenommen, einschließlich geeigneter Vorsichtsmaßnahmen für Angehörige der Heilberufe und Patienten.

Weitere Informationen über Galafold

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Galafold finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Galafold benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Galafold finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).