



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kokkuvõte üldsusele

---

# Galafold migalastaat

See on ravimi Galafold Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloa andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Galafoldi kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Galafoldi kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

## Mis on Galafold ja milleks seda kasutatakse?

Galafoldi kasutatakse vähemalt 16-aasta vanuste Fabry tõvega patsientide ravimiseks. Fabry tõbi on haruldane pärilik haigus, mille korral esineb patsientidel mitmesuguseid mutatsioone (muutusi) geenis, mis juhib ensüümi alfa-galaktosidaas A tekkimist. Normaalselt lagundab see ensüüm rasvainet globotriaosüültseramiidi (GL-3). Fabry tõvega patsientidel ei toimi see ensüüm korralikult, mille tõttu GL-3 ei lagune ja see koguneb organismi mitmesugustesse rakkudesse, näiteks südamesse ja neerudesse.

Et Fabry tõvega patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Galafold 22. mail 2006 harvikravimiks.

Galafold sisaldab toimeainena migalastaati.

## Kuidas Galafoldi kasutatakse?

Galafold on retseptiravim. Ravi Galafoldiga peab alustama Fabry tõve diagnoosimises ja ravis kogenud arst ning ravi peab toimuma tema järelevalve all.

Galafoldi turustatakse kapslitena (123 mg). Galafoldi soovitatav annus on üks kapsel ülepäeviti, võetuna suu kaudu vähemalt 2 tundi enne või pärast sööki.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Galafold on ette nähtud kasutamiseks ainult alfa-galaktosidaas A geeni teatud mutatsioonidega patsientidel. Üksikasjalik teave on ravimi omaduste kokkuvõttes (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa).

## **Kuidas Galafold toimib?**

Galafoldi toimeaine migalastaat seondub ensüümi alfa-galaktosidaas A teatud ebastabiilsete vormidega, stabiliseerides nii ensüümi. See võimaldab ensüümi transportida rakuosadesse, kus see lagundab rasvainet GL-3.

## **Milles seisneb uuringute põhjal Galafoldi kasulikkus?**

Galafoldi uuriti kahes põhiuuringus, milles osales kokku 127 Fabry tõvega patsienti.

Esimeses uuringus (67 patsienti) võrreldi Galafoldi ja platseebot (näiv ravim) ning jälgiti ravivastusega patsientide protsenti. Ravivastus määratleti kui GL-3 ladestumise vähemalt 50% vähenemine neerudes. Üldiselt leiti, et Galafold ei olnud GL-3 ladestuste vähendamisel platseebost efektiivsem. Samas tõendasid täiendavad analüüsid ainult patsientidega, kellel olid Galafoldiga ravitavad geenimutatsioonid, et nad reageerisid 6-kuulise ravi järel paremini Galafoldile kui platseebole.

Teises uuringus (60 patsienti) võrreldi Galafoldi alfa-agalsidaasi või beeta-agalsidaasiga, mis mõlemad asendavad puuduvat ensüümi. Efektiivsuse põhinäitaja oli patsientide neerufunktsiooni muutus 18-kuulise ravi järel. Uuringus leiti, et Galafold on patsientide neerufunktsiooni stabiliseerimisel sama efektiivne kui ensüümasendusravi.

## **Mis riskid Galafoldiga kaasnevad?**

Galafoldi kõige sagedam kõrvalnäht (võib esineda kuni 1 patsiendil 10st) on peavalu.

Galafoldi kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

## **Miks Galafold heaks kiideti?**

Inimravimite komitee otsustas, et Galafoldi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita. Komitee märkis, et Galafoldi on uuritud piiratud arvul patsientidel, kuid olemasolevaid tõendeid peetakse nii haruldase haiguse kohta piisavaks. Inimravimite komitee märkis ka, et Galafold on suukaudne ravim, mis võib olla eeliseks võrreldes teiste heaks kiidetud ravimeetoditega, näiteks ensüümasendusraviga, mida manustatakse veeniinfusioonina. Ohutuse poolest talutakse Galafoldi hästi.

## **Mis meetmed võetakse, et tagada Galafoldi ohutu ja efektiivne kasutamine?**

Töötati välja riskijuhtimiskava, et tagada Galafoldi võimalikult ohutu kasutamine. Selle alusel lisati Galafoldi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele ravimi ohutusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

## Muu teave Galafoldi kohta

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Galafoldi kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Galafoldiga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Galafoldi kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).