



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

---

# Galafold

## migalastat

Dan huwa sommarju tar-Rapport Pubbliku Ewropew ta' Valutazzjoni (EPAR) għal Galafold. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-mediċina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet dwar l-użu tagħha. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Galafold.

Għal informazzjoni Prattika fuq l-użu ta' Galafold, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew spizjar tagħhom.

## X'inhom Galafold u għal xiex jintuża?

Galafold huwa mediċina użata biex tikkura pazjenti li għandhom 16-il sena jew iżjed bil-marda ta' Fabry. Din hija disturb rari li jintiret fejn il-pazjenti jkollhom diversi mutazzjonijiet (bidliet) fil-ġeni responsabbli għall-produzzjoni tal-enzima msejġha alpha-galactosidase A, li normalment tkisser is-sustanza xaħmija msejġha globotriaosylceramide (GL-3). F'pazjenti bil-marda ta' Fabry, din l-enzima ma taħdimx kif suppost. B'riżultat ta' dan, il-GL-3 ma tkunx tista' titkisser u takkumula f'diversi ċelloli fil-ġisem, inkluż fil-qalb u fil-kliwi.

Peress li n-numru ta' pazjenti li jbatu mill-marda ta' Fabry huwa wieħed baxx, il-marda titqies bħala 'rari', u Galafold ġie kklassifikat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-22 ta' Mejju 2006.

Galafold fih is-sustanza attiva migalastat.

## Kif jintuża Galafold?

Galafold jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tiġi sorveljata minn tabib li jkun esperjenzat fid-dijanjożi u l-kura tal-marda ta' Fabry.

Galafold jiġi f'kapsuli (123 mg). Id-doża rakkomandata ta' Galafold hija ta' kapsula waħda kull jumejn, li tittiehed mill-ħalq mill-inqas sagħtejn qabel jew wara l-ikel.

---

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 huwa biss għall-użu f'pazjenti b'ċerti mutazzjonijiet fil-gene alpha-galactosidase A. Għal aktar informazzjoni, ara s-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott (parti wkoll mill-EPAR).

## **Kif jaħdem Galafold?**

Is-sustanza attiva f'Galafold, migalastat, tehel ma' ċerti forom instabbli ta' alpha-galactosidase A, u b'hekk tistabbilixxi l-enzima. Din tippermetti lill-enzima biex tiġi trasportata f'żoni taċ-ċellula fejn tista' taqsam il-GL-3.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Galafold li ħarġu mill-istudji?**

Galafold ġie studjat f'żewġ studji ewlenin li fihom b'kollox ħadu sehem 127 pazjent li jbatu mill-mard ta' Fabry.

L-ewwel studju, li qabbel Galafold mal-plaċebo (kura finta) f'67 pazjent, ħares lejn il-proporzjon ta' pazjenti li rrispondew għal kura (definit bħala t-tnaqqis ta' mill-inqas 50 % fid-depożiti tal-GL-3 fil-kliwi). B'mod ġenerali, Galafold ma nstabx li huwa iżjed effettiv mill-plaċebo fit-tnaqqis tad-depożiti tal-GL-3; madankollu, l-analiżi addizzjonali li tinkludi biss pazjenti b'dawk il-mutazzjonijiet ġenetiċi li jistgħu jiġu kkurati b'Galafold uriet li l-pazjenti rrispondew aħjar għal Galafold milli għall-plaċebo wara 6 xhur ta' kura.

It-tieni studju, f'60 pazjent, qabbel Galafold mal-mediċini agalsidase alfa jew agalsidase beta, żewġ kuri li jissostitwixxu l-enzima nieqsa. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-funzjoni tal-kliwi tal-pazjenti wara 18-il xahar ta' kura. F'dan l-istudju, Galafold instab li huwa effettiv daqs is-sostituzzjoni tal-enzima f'dak li għandu x'jaqsam mal-istabbilizzazzjoni tal-funzjoni tal-kliwi tal-pazjenti.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Galafold?**

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Galafold (li jista' jaffettwa aktar minn persuna 1 minn kull 10) huwa l-uġiġħ ta' ras.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportati b'Galafold, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex giet approvat Galafold?**

Il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) tal-Aġenzija ddeċieda li l-benefiċċji ta' Galafold huma akbar mir-riskji tiegħu u rakkomanda li jkun approvat għall-użu fl-UE. Il-Kumitat innota li Galafold ġie studjat f'numru limitat ta' pazjenti, madankollu l-evidenza disponibbli hija meqjusa suffiċjenti għal marda rari bħal din. Is-CHMP innota wkoll li Galafold jittiehed mill-ħalq u dan jista' jkun ta' vantaġġ meta mqabbel ma' kuri awtorizzati oħrajn bħas-sostituzzjoni tal-enzima li jingħataw permezz ta' infużjoni (dripp) fil-vina. Rigward is-sigurtà, Galafold kien ittollerat tajjeb.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Galafold?**

Ġie żviluppat pjan ta' ġestjoni tar-riskju biex jiġi żgurat li Galafold jintuża bl-aktar mod sigur possibbli. Abbażi ta' dan il-pjan, fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u l-fuljett ta' tagħrif giet inkluża informazzjoni rigward is-sigurtà ta' Galafold, inklużi l-prekawzjonijiet xierqa li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti tal-kura tas-saħħa u l-pazjenti.

## **Informazzjoni oħra dwar Galafold**

L-EPAR sħiħ għal Galafold jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Galafold, aqra l-fuljett ta' taġħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew spizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Medċinali Orfni għal Galafold jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).