



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Galafold

migalastat

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Galafold. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Galafold.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Galafold.

Wat is Galafold en wanneer wordt het voorgeschreven?

Galafold is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten van 16 jaar of ouder met de ziekte van Fabry. Dit is een zeldzame erfelijke aandoening waarbij patiënten verschillende mutaties (veranderingen) hebben in het gen dat verantwoordelijk is voor de productie van het enzym alfa-galactosidase A, dat normaliter een vette substantie, globotriaosylceramide (GL-3), afbreekt. Bij patiënten met de ziekte van Fabry werkt dit enzym niet goed. Daardoor kan GL-3 niet worden afgebroken en wordt het afgezet in verschillende cellen van het lichaam, waaronder in het hart en de nieren.

Aangezien het aantal patiënten met de ziekte van Fabry klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Galafold op 22 mei 2006 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Galafold bevat de werkzame stof migalastat.



Hoe wordt Galafold gebruikt?

Galafold is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling mag alleen worden gestart door en moet onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de diagnostiek en behandeling van de ziekte van Fabry.

Galafold is verkrijgbaar in de vorm van capsules (123 mg). De aanbevolen dosis Galafold is één capsule om de andere dag, ingenomen via de mond ten minste 2 uur vóór of na de inname van voedsel.

Galafold is alleen bestemd voor gebruik bij patiënten met bepaalde mutaties in het alfa-galactosidase A-gen. Raadpleeg voor meer informatie de samenvatting van de productkenmerken (ook onderdeel van het EPAR).

Hoe werkt Galafold?

De werkzame stof in Galafold, migalastat, hecht zich aan bepaalde instabiele vormen van alfa-galactosidase A, waardoor het enzym wordt gestabiliseerd. Hierdoor kan het enzym naar gebieden van de cel worden getransporteerd waar het GL-3 kan afbreken.

Welke voordelen bleek Galafold tijdens de studies te hebben?

Galafold is onderzocht in twee hoofdstudies onder in totaal 127 patiënten met de ziekte van Fabry.

In de eerste studie, waarin bij 67 patiënten Galafold werd vergeleken met placebo (een schijnbehandeling), werd gekeken naar aantal patiënten dat reageerde op behandeling (gedefinieerd als een vermindering van ten minste 50% in GL-3-afzettingen in de nieren). In het algemeen bleek dat Galafold niet effectiever was dan placebo wat betreft het verminderen van GL-3-afzettingen; aanvullende analyses die alleen patiënten omvatten met genetische mutaties die kunnen worden behandeld met Galafold, toonden echter aan dat patiënten na 6 maanden behandeling beter op Galafold dan op placebo reageerden.

In de tweede studie, bij 60 patiënten, werd Galafold vergeleken met de geneesmiddelen agalsidase-alfa of agalsidase-bèta, twee behandelingen die het ontbrekende enzym vervangen. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in de nierfunctie van de patiënten na 18 maanden behandeling. In deze studie bleek Galafold even effectief als enzymvervanging wat betreft het stabiliseren van de nierfunctie van de patiënten.

Welke risico's houdt het gebruik van Galafold in?

De meest voorkomende bijwerking van Galafold (die bij maximaal 1 op de 10 personen kan optreden) is hoofdpijn.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Galafold.

Waarom is Galafold goedgekeurd?

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Galafold groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel voor gebruik in de EU goed te keuren. Het Comité merkte op dat Galafold weliswaar bij een beperkt aantal patiënten was onderzocht, maar dat het beschikbare bewijs voldoende wordt geacht voor een dergelijke zeldzame aandoening. Het CHMP merkte ook op dat Galafold via de mond wordt ingenomen,

en dit zou een voordeel kunnen zijn vergeleken met andere goedgekeurde behandelingen, zoals enzymvervanging, die via een infusie (indruppeling) in een ader worden gegeven. Wat betreft veiligheid werd Galafold goed verdragen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Galafold te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van Galafold te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter van Galafold veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Overige informatie over Galafold

Het volledige EPAR voor Galafold is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Galafold.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Galafold is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).