



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

### Galafold migalastat

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Galafold. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Galafold.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Galafold należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

### Co to jest produkt Galafold i w jakim celu się go stosuje?

Galafold jest lekiem stosowanym do leczenia pacjentów w wieku 16 lat lub starszych z chorobą Fabry'ego. Jest to rzadkie zaburzenie dziedziczne, w którym u pacjentów występują różne mutacje (zmiany) w genie odpowiedzialnym za wytwarzanie enzymu zwanego alfa-galaktozydazą A, który normalnie powoduje rozkład substancji tłuszczowej o nazwie globotriaosyloceramid (GL-3). U pacjentów z chorobą Fabry'ego enzym ten nie działa prawidłowo. W rezultacie GL-3 nie może być rozkładany i gromadzi się w różnych komórkach w organizmie, w tym również w sercu i nerkach.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z chorobą Fabry'ego choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 22 maja 2006 r. produkt Galafold uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Galafold zawiera substancję czynną migalastat.

### Jak stosować produkt Galafold?

Lek Galafold jest dostępny wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz doświadczony w rozpoznawaniu i leczeniu choroby Fabry'ego.



Lek Galafold jest dostępny w postaci kapsułek (123 mg). Zalecana dawka leku Galafold odpowiada jednej kapsułce przyjmowanej co drugi dzień, doustnie, co najmniej 2 godziny przed posiłkiem lub po posiłku.

Galafold jest przeznaczony wyłącznie do stosowania u pacjentów z określonymi mutacjami w genie alfa-galaktozydazy A. Więcej informacji znajduje się w charakterystyce produktu leczniczego (także część EPAR).

## **Jak działa produkt Galafold?**

Substancja czynna zawarta w leku Galafold, migalastat, łączy się z niektórymi niestabilnymi postaciami alfa-galaktozydazy A, stabilizując ten enzym. Umożliwia to przetransportowanie enzymu do miejsc w komórce, gdzie może on rozkładać GL-3.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Galafold zaobserwowano w badaniach?**

Lek Galafold oceniano w dwóch badaniach głównych z udziałem łącznie 127 pacjentów z chorobą Fabry'ego.

W pierwszym badaniu, w którym Galafold porównywano z placebo (leczeniem nieaktywnym) u 67 pacjentów, określono odsetek pacjentów, u których wystąpiła odpowiedź na leczenie (zdefiniowana jako redukcja o co najmniej 50% ilości GL-3 zgromadzonego w nerkach). W całej populacji nie zaobserwowano, aby lek Galafold był skuteczniejszy niż placebo pod względem redukcji ilości zgromadzonego GL-3; jednak dodatkowe analizy obejmujące tylko pacjentów z tymi mutacjami genetycznymi, które można leczyć lekiem Galafold, wykazała, że u pacjentów występuje korzystniejsza odpowiedź na Galafold niż na placebo po 6 miesiącach leczenia.

W drugim badaniu, w którym uczestniczyło 60 pacjentów, porównywano Galafold z lekami o nazwach agalzydaza alfa lub agalzydaza beta – dwoma lekami, które zastępują brakujący enzym. Główną miarą skuteczności była zmiana czynności nerek u pacjentów po 18 miesiącach leczenia. W badaniu tym zaobserwowano, że lek Galafold jest tak samo skuteczny, jak enzymatyczna terapia zastępcza pod względem stabilizowania czynności nerek u pacjentów.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Galafold?**

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku Galafold (mogące wystąpić u około 1 osoby na 10) to bóle głowy.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu Galafold znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Galafold?**

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Galafold przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE. Komitet zauważył, że Galafold badano u ograniczonej liczby pacjentów, jednak dostępne dowody uznano za wystarczające w przypadku tak rzadkiej choroby. CHMP zauważył również, że produkt Galafold przyjmuje się doustnie, co może stanowić zaletę w porównaniu z innymi zatwierdzonymi metodami leczenia, takimi jak enzymatyczna terapia zastępcza, którą podaje się we wlewie dożylnym (w formie kroplówki). Jeżeli chodzi o bezpieczeństwo, produkt Galafold był dobrze tolerowany.

## **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Galafold?**

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu Galafold opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu Galafold zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące produktu Galafold:**

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Galafold znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).

W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Galafold należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Galafold znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).