



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/378245/2021
EMA/H/C/004059

Galafold (*migalastat*)

Información general sobre Galafold y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Galafold y para qué se utiliza?

Galafold es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de pacientes a partir de 12 años que padecen la enfermedad de Fabry. Esta enfermedad es un trastorno hereditario raro en el que los pacientes presentan diversas mutaciones (cambios) en el gen responsable de producir una enzima llamada alfa-galactosidasa. Normalmente, esta enzima descompone una sustancia grasa denominada globotriaosilceramida (GL-3). Como consecuencia de las mutaciones, la enzima no funciona correctamente y no puede descomponer la GL-3. Esto da lugar a la acumulación de GL-3 en varias células del organismo, incluidas aquellas del corazón y los riñones.

La enfermedad de Fabry es una enfermedad rara, y Galafold fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 22 de mayo de 2006. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Galafold contiene el principio activo migalastat.

¿Cómo se usa Galafold?

Galafold solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento solo lo debe iniciar y supervisar un médico con experiencia en el diagnóstico y el tratamiento de la enfermedad de Fabry.

Galafold se presenta en cápsulas. La dosis recomendada de Galafold es de una cápsula cada dos días. Los pacientes no deben consumir ningún alimento al menos 2 horas antes y 2 horas después de tomar Galafold para permitir la absorción completa.

Galafold solo se usa en pacientes con ciertas mutaciones en el gen de la alfa-galactosidasa A. Para mayor información sobre el uso de Galafold, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



¿Cómo actúa Galafold?

El principio activo de Galafold, el migalastat, se acopla a ciertas formas inestables de la enzima alfa-galactosidasa A, estabilizándola. Esto permite que la enzima se transporte a zonas de la célula en la que puede descomponer la GL-3.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Galafold en los estudios realizados?

Galafold se ha investigado en dos estudios principales en los que participaron un total de 127 pacientes mayores de 16 años con enfermedad de Fabry.

En el primer estudio, en el que se comparó Galafold con un placebo (un tratamiento ficticio) en 67 pacientes, se examinó la proporción de pacientes que respondieron al tratamiento (definida como una reducción de al menos el 50 % en los depósitos de GL-3 en los riñones). En general, no se observó que Galafold fuera más eficaz que el placebo para reducir los depósitos de GL-3; sin embargo, otros análisis que incluían solo a pacientes con las mutaciones genéticas que pueden ser tratados con Galafold demostraron que los pacientes respondieron mejor a Galafold que al placebo después de 6 meses de tratamiento.

El segundo estudio, en 60 pacientes, comparó Galafold con los fármacos agalsidasa alfa o agalsidasa beta, dos tratamientos que sustituyen a la enzima que falta. El criterio principal de valoración de la eficacia fue el cambio en la función renal de los pacientes después de 18 meses de tratamiento. En este estudio, se demostró que Galafold era tan eficaz como la sustitución enzimática a la hora de estabilizar la función renal del paciente.

La compañía presentó también los resultados de un estudio que demostró que Galafold produce los mismos niveles del principio activo en el organismo y tiene el mismo efecto en adolescentes de 12 a 15 años, inclusive, que en adultos y jóvenes de 16 años o más.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Galafold?

El efecto adverso más frecuente de Galafold (puede afectar a alrededor de 1 de cada 10 personas) es el dolor de cabeza.

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Galafold se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Galafold en la UE?

La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Galafold son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE. La Agencia señaló que Galafold se estudió en un número reducido de pacientes, sin embargo se considera que las pruebas disponibles son suficientes para esta enfermedad rara. La Agencia también señaló que Galafold se toma por vía oral y esto podría ser una ventaja en comparación con otros tratamientos autorizados como la sustitución enzimática que se administran mediante perfusión intravenosa (goteo). En relación con la seguridad, Galafold se toleró bien.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Galafold?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Galafold se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Otra información sobre Galafold

Galafold recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 26 de mayo de 2016.

Puede encontrar información adicional sobre Galafold en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Fecha de la última actualización de este resumen: 07-2021.