



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Galafold (migalastaat)

Ülevaade ravimist Galafold ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Galafold ja milleks seda kasutatakse?

Galafold on ravim, mida kasutatakse vähemalt 12-aastaste Fabry tõvega patsientide raviks. See on haruldane pärilik haigus, mille korral patsientidel esineb mitmesuguseid mutatsioone (muutusi) geenis, mis juhib ensüümi alfa-galaktosidaasi teket. See ensüüm lõhustab organismis tavaliselt rasvainet globotriaosüültseramiidi (GL-3). Mutatsioonide tulemusena ei toimi ensüüm korralikult ega saa rasvainet GL-3 lagundada. Seetõttu koguneb GL-3 organismi eri rakkudesse, sealhulgas südamesse ja neerudesse.

Fabry tõbi esineb harva ja Galafold nimetati 22. mail 2006 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Galafold sisaldab toimeainena migalastaati.

Kuidas Galafoldi kasutatakse?

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

Galafoldi turustatakse kapslitena. Galafoldi soovitatav annus on üks kapsel ülepäeviti. Patsiendid ei tohi süüa vähemalt 2 tundi enne ja 2 tundi pärast Galafoldi võtmist, et võimaldada täielikku imendumist.

Galafold on ette nähtud kasutamiseks ainult alfa-galaktosidaas A geeni teatud mutatsioonidega patsientidel. Lisateavet Galafoldi kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

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 üle 16-aastast patsienti.

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

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.

Ettevõtte esitas ka uuringu tulemused, mis tõendasid, et Galafold tekitab 12–15-aastastel noorukitel organismis sama toimeainesisalduse kui täiskasvanutel ja vähemalt 16-aastastel noortel.

Mis riskid Galafoldiga kaasnevad?

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

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

Miks Galafold ELis heaks kiideti?

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

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

Galafoldi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Muu teave Galafoldi kohta

Galafold on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 26. mail 2016.

Lisateave Galafoldi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 07.2021