



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Galafold (*migalastaatti*)

Yleistiedot Galafold-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Galafold on ja mihin sitä käytetään?

Galafoldia käytetään Fabryn tautia sairastavien vähintään 12-vuotiaiden potilaiden hoitoon. Kyseessä on harvinainen perinnöllinen sairaus, jossa potilailla esiintyy erilaisia mutaatioita (muutoksia) geenissä, joka vastaa alfaalaktosidaasi-nimisen entsyymin tuotannosta. Tämä entsyymi hajottaa normaalisti rasva-ainetta nimeltä globotriaosyyleramidi (GL-3). Mutaatioiden seurauksena entsyymi ei toimi kunnolla eikä pysty hajottamaan GL-3:a. Tämä johtaa GL-3:n kertymiseen eri elinten soluihin kehossa, mukaan lukien sydän ja munuaiset.

Fabryn tauti on harvinainen ja Galafold nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 22. toukokuuta 2006. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368).

Galafoldin vaikuttava aine on migalastaatti.

### Miten Galafoldia käytetään?

Galafold on reseptivalmiste. Hoidon saa aloittaa vain Fabryn taudin diagnosoinnista ja hoidosta kokemusta saaneen lääkärin valvonnassa.

Galafoldia on saatavana kapsleina. Suositeltu Galafold-annos on yksi kapseli joka toinen päivä. Potilaan on oltava syömättä vähintään kaksi tuntia ennen Galafoldin ottamista ja ottamisen jälkeen, jotta lääke imeytyisi täysimääräisesti.

Galafold on tarkoitettu ainoastaan potilaille, joilla on tiettyjä mutaatioita alfaalaktosidaasi A -entsyymiä tuottavassa geenissä. Lisätietoja Galafoldin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Galafold vaikuttaa?

Galafoldin vaikuttava aine migalastaatti kiinnittyy tiettyihin alfaalaktosidaasi A -entsyymien epävakaisiin muotoihin ja vakauttaa entsyymien toimintaa. Näin entsyymi pääsee solun osiin, joissa se voi hajottaa GL-3:a.



## Mitä hyötyä Galafoldista on havaittu tutkimuksissa?

Galafoldia on tutkittu kahdessa päätutkimuksessa, joihin osallistui yhteensä 127 yli 16-vuotiasta Fabryn tautia sairastavaa potilasta.

Ensimmäisessä tutkimuksessa, jossa Galafoldia verrattiin lumelääkkeeseen 67 potilaalla, tarkasteltiin niiden potilaiden osuutta, jotka vastasivat hoitoon (eli joilla GL-3:n kertyminen munuaisiin väheni vähintään 50 prosenttia). Yleisesti katsoen Galafoldin ei todettu vähentävän GL-3:n kertymistä lumelääkettä tehokkaammin. Lisäanalyysit pelkästään niillä potilailla, joilla oli Galafoldilla hoidettavissa olevia geneettisiä mutaatioita, osoittivat kuitenkin, että näiden potilaiden vaste kuuden kuukauden Galafold-hoidon jälkeen oli lumelääkettä parempi.

Toisessa tutkimuksessa, johon osallistui 60 potilasta, Galafoldia verrattiin alfa-agalsidaasi- ja beeta-agalsidaasi-lääkevalmisteisiin, jotka korvaavat puuttuvan entsyymin. Tehon pääasiallinen mitta oli muutos potilaiden munuaisten toiminnassa 18 kuukauden hoidon jälkeen. Tässä tutkimuksessa Galafoldin todettiin vakauttavan potilaiden munuaisten toimintaa yhtä tehokkaasti kuin entsyymikorvaushoito.

Yhtiö toimitti myös tulokset tutkimuksesta, joka osoitti, että Galafold tuottaa saman pitoisuuden vaikuttavaa ainetta elimistössä ja vaikuttaa samalla tavalla 12–15-vuotiailla nuorilla kuin aikuisilla ja vähintään 16-vuotiailla nuorilla.

## Mitä riskejä Galafoldiin liittyy?

Galafoldin yleisin haittavaikutus (jota saattaa aiheutua noin 1 potilaalle 10:stä) on päänsärky.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Galafoldin ilmoitetusta sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

## Miksi Galafold on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Galafoldin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa. Virasto pani merkille, että Galafoldia tutkittiin vain rajallisella määrällä potilaita, mutta näytön katsotaan riittävän näin harvinaisen sairauden kohdalla. Virasto pani merkille myös, että Galafold otetaan suun kautta, mikä saattaa olla etu verrattuna muihin hyväksyttyihin hoitoihin, kuten entsyymikorvaushoitoon, jotka annetaan infuusiona (tiputuksena) laskimoon. Turvallisuuden osalta Galafold oli hyvin siedetty.

## Miten voidaan varmistaa Galafoldin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Galafoldin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

## Muita tietoja Galafoldista

Galafold sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 26. toukokuuta 2016.

Lisää tietoa Galafold-valmisteesta on viraston verkkosivustolla [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 07-2021.