



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

Galafold (*migalastat*)

Aperçu de Galafold et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Galafold et dans quel cas est-il utilisé?

Galafold est un médicament utilisé dans le traitement des patients âgés de 12 ans et plus atteints de la maladie de Fabry. Les patients atteints de cette maladie héréditaire rare présentent diverses mutations (modifications) du gène responsable de la production d'une enzyme appelée alpha-galactosidase. Cette enzyme élimine habituellement une substance lipidique appelée globotriaosylcéramide (GL-3). Du fait des mutations, l'enzyme ne fonctionne pas correctement et ne peut pas éliminer le GL-3. Cela conduit à une accumulation de GL-3 dans différentes cellules de l'organisme, y compris dans le cœur et les reins.

La maladie de Fabry est rare et Galafold a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 22 mai 2006. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Galafold contient la substance active migalastat.

Comment Galafold est-il utilisé?

Galafold n'est délivré que sur ordonnance et le traitement ne doit être instauré et surveillé que par un médecin ayant l'expérience du diagnostic et du traitement de la maladie de Fabry.

Galafold est disponible sous forme de gélules. La dose recommandée de Galafold est d'une gélule tous les deux jours. Les patients ne doivent pas consommer d'aliments au moins 2 heures avant et 2 heures après la prise de Galafold pour permettre une absorption totale.

Galafold n'est destiné à être utilisé que par les patients porteurs de certaines mutations du gène de l'alpha-galactosidase A. Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Galafold, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.



Comment Galafold agit-il?

La substance active de Galafold, le migalastat, se fixe à certaines formes instables de l'alpha-galactosidase A, ce qui stabilise cette enzyme et lui permet d'être transportée dans des zones de la cellule où elle peut éliminer le GL-3.

Quels sont les bénéfices de Galafold démontrés au cours des études?

Galafold a fait l'objet de deux études principales portant sur un total de 127 patients âgés de plus de 16 ans atteints de la maladie de Fabry.

La première étude, qui a comparé Galafold à un placebo (un traitement fictif) chez 67 patients, a analysé la proportion de patients qui répondaient au traitement (la réponse étant définie comme une diminution d'au moins 50 % des dépôts de GL-3 dans les reins). Globalement, Galafold ne s'est pas révélé plus efficace que le placebo pour réduire les dépôts de GL-3; toutefois, des analyses supplémentaires incluant uniquement des patients porteurs des mutations génétiques pouvant être traitées par Galafold ont montré que les patients répondaient mieux à Galafold qu'au placebo après 6 mois de traitement.

La deuxième étude, menée chez 60 patients, a comparé Galafold aux médicaments agalsidase alfa ou agalsidase bêta, deux traitements qui remplacent l'enzyme absente. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la modification de la fonction rénale des patients après 18 mois de traitement. Dans cette étude, Galafold s'est révélé aussi efficace que le traitement enzymatique substitutif pour stabiliser la fonction rénale des patients.

La société a également fourni les résultats d'une étude qui a montré que Galafold produit les mêmes taux de substance active dans l'organisme et a le même effet chez les adolescents âgés de 12 à 15 ans inclus que chez les adultes et les jeunes âgés de 16 ans et plus.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Galafold?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Galafold (qui peuvent toucher environ une personne sur 10) sont les maux de tête.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Galafold, voir la notice.

Pourquoi Galafold est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Galafold sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE. L'Agence a pris note du fait que Galafold a été étudié sur un nombre limité de patients, mais les éléments de preuve disponibles ont été jugés suffisants pour ce genre de maladie rare. L'Agence a également relevé que Galafold est pris par voie orale et que cela pourrait constituer un avantage par rapport aux autres traitements autorisés, tels que le traitement enzymatique substitutif, qui sont administrés par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine. Concernant la sécurité, Galafold a été bien toléré.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Galafold?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Galafold ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Autres informations relatives à Galafold:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Galafold, le 26 mai 2016.

Des informations sur Galafold sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalafold.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 07-2021.