



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Galafold (*migalastat*)

Pregled informacija o lijeku Galafold i zašto je odobren u EU-u

Što je Galafold i za što se koristi?

Galafold je lijek koji se koristi za liječenje bolesnika u dobi od 12 godina i starijih koji imaju Fabryjevu bolest. To je rijedak nasljedni poremećaj kod kojeg bolesnici imaju različite mutacije (promjene) na genu odgovornom za stvaranje enzima alfa-galaktozidaze. U normalnim okolnostima taj enzim razgrađuje masnu tvar globotriaosilceramid (GL-3). Međutim, zbog mutacija enzim ne djeluje ispravno i ne može razgraditi GL-3. To dovodi do nakupljanja tvari GL-3 u različitim stanicama u tijelu, uključujući u srcu i bubrezima.

Fabryjeva bolest je rijetka bolest, a lijek Galafold dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 22. svibnja 2006. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

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

Galafold sadrži djelatnu tvar migalastat.

Kako se Galafold primjenjuje?

Galafold se izdaje samo na recept, a liječenje smije započeti i nadzirati isključivo liječnik s iskustvom u dijagnosticiranju i liječenju Fabryjeve bolesti.

Lijek Galafold dostupan je u obliku kapsula. Preporučena doza lijeka Galafold jest jedna kapsula svaki drugi dan. Bolesnici ne smiju konzumirati hranu barem dva sata prije i dva sata nakon uzimanja lijeka Galafold kako bi se omogućila potpuna apsorpcija.

Lijek Galafold namijenjen je samo za primjenu u bolesnika s određenim mutacijama gena za alfa-galaktozidazu A. Za više informacija o primjeni lijeka Galafold pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Galafold?

Djelatna tvar u lijeku Galafold, migalastat, veže se za određene nestabilne oblike enzima alfa-galaktozidaza A i stabilizira ga. Time se omogućuje prijenos enzima u područja stanice u kojima može razgraditi GL-3.

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



© European Medicines Agency, 2021. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Koje su koristi od lijeka Galafold utvrđene u ispitivanjima?

Lijek Galafold ispitivan je u dvama glavnim ispitivanjima koja su obuhvatila ukupno 127 bolesnika starijih od 16 godina s Fabryjevom bolešću.

U prvom ispitivanju, u kojem je lijek Galafold uspoređen s placebom (prividnim liječenjem) u 67 bolesnika, promatrao se udio bolesnika koji su odgovorili na liječenje (definirano kao smanjenje taloženja tvari GL-3 u bubrezima za najmanje 50 %). Općenito, utvrđeno je da lijek Galafold nije učinkovitiji od placeba u pogledu smanjenja taloženja tvari GL-3. Međutim, dodatne analize koje su uključile samo bolesnike s genetskim mutacijama koje se mogu liječiti lijekom Galafold pokazale su da su bolesnici nakon šest mjeseci liječenja bolje odgovorili na Galafold nego na placebo.

U drugom ispitivanju, koje je provedeno na 60 bolesnika, lijek Galafold uspoređen je s agalzidazom alfa ili agalzidazom beta, dvama lijekovima kojima se nadomješta enzim koji nedostaje. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena u funkciji bubrega bolesnika nakon 18 mjeseci liječenja. U tom je ispitivanju utvrđeno da je u pogledu stabilizacije bubrežne funkcije bolesnika lijek Galafold jednako učinkovit kao i enzimska nadomjesna terapija.

Tvrtka je dostavila i rezultate ispitivanja koje je pokazalo da Galafold proizvodi iste razine djelatne tvari u tijelu i ima isti učinak u adolescenata u dobi od 12 do (uključivo) 15 godina kao i u odraslih osoba i mladih u dobi od 16 i više godina.

Koji su rizici povezani s lijekom Galafold?

Najčešća nuspojava lijeka Galafold (koja se može javiti u otprilike 1 na 10 osoba) jest glavobolja.

Potpuni popis svih nuspojava i ograničenja pri primjeni lijeka Galafold potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Galafold odobren u EU-u?

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Galafold nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u. Iako je Agencija naglasila da je lijek Galafold ispitivan na ograničenom broju bolesnika, dostupni dokazi smatraju se dostatnim za liječenje tako rijetke bolesti. Agencija je isto tako napomenula da se Galafold uzima kroz usta, što može biti prednost u usporedbi s drugim odobrenim terapijama poput enzimске nadomjesne terapije, koja se daje infuzijom (ukapavanjem) u venu. U pogledu sigurnosti, lijek Galafold dobro se podnosio.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Galafold?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Galafold nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Galafold

Lijek Galafold dobio je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 26. svibnja 2016.

Više informacija o lijeku Galafold dostupno je na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 7. 2021.