



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Galafold (*migalastat*)

Sintesi di Galafold e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Galafold e per cosa si usa?

Galafold è un medicinale usato per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti dalla malattia di Fabry. Si tratta di una rara malattia ereditaria in cui i pazienti presentano varie mutazioni nel gene responsabile della produzione di un enzima denominato alfa-galattosidasi. Questo enzima normalmente scompone una sostanza grassa chiamata globotriaosilceramide (GL-3). A causa delle mutazioni, l'enzima non funziona correttamente e non può scomporre il GL-3, con conseguente suo accumulo in varie cellule dell'organismo, compresi cuore e reni.

La malattia di Fabry è rara e Galafold è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 22 maggio 2006. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Galafold contiene il principio attivo migalastat.

Come si usa Galafold?

Galafold può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato e monitorato da un medico esperto nella diagnosi e nel trattamento della malattia di Fabry.

Galafold è disponibile in capsule. La dose raccomandata di Galafold è di una capsula a giorni alterni. I pazienti non devono consumare cibo almeno 2 ore prima e 2 ore dopo l'assunzione di Galafold per consentirne l'assorbimento completo.

Galafold deve essere usato solo nei pazienti che presentano determinate mutazioni del gene alfa-galattosidasi A. Per maggiori informazioni sull'uso di Galafold, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Galafold?

Galafold contiene il principio attivo migalastat, che si lega a determinate forme instabili dell'alfa-galattosidasi A, stabilizzando l'enzima. Ciò consente di trasportare l'enzima nelle aree della cellula dove può scomporre il 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



Quali benefici di Galafold sono stati evidenziati negli studi?

Galafold è stato esaminato in due studi principali condotti su un totale di 127 pazienti di età superiore a 16 anni affetti dalla malattia di Fabry.

Il primo studio, che ha confrontato Galafold con il placebo (un trattamento fittizio) in 67 pazienti, ha valutato la percentuale di pazienti che hanno risposto al trattamento (definita come una riduzione di almeno il 50 % dei depositi di GL-3 nei reni). In generale, Galafold non si è dimostrato più efficace del placebo nel ridurre i depositi di GL-3; tuttavia, altre analisi che hanno incluso solo i pazienti con le mutazioni genetiche che possono essere trattate con Galafold hanno mostrato che i pazienti hanno risposto meglio a Galafold che al placebo dopo 6 mesi di trattamento.

Il secondo studio, su 60 pazienti, ha messo a confronto Galafold con le sostanze agalsidasi alfa e agalsidasi beta, due trattamenti sostitutivi dell'enzima mancante. La principale misura dell'efficacia era il cambiamento della funzionalità renale dei pazienti dopo 18 mesi di trattamento. In questo studio, Galafold si è dimostrato efficace quanto la terapia enzimatica sostitutiva nella stabilizzazione della funzionalità renale dei pazienti.

La ditta ha inoltre fornito i risultati di uno studio che ha dimostrato che Galafold produce gli stessi livelli di principio attivo nell'organismo e ha lo stesso effetto negli adolescenti di età compresa tra i 12 e i 15 anni inclusi rispetto agli adulti e ai giovani di età pari o superiore ai 16 anni.

Quali sono i rischi associati a Galafold?

L'effetto indesiderato più comune di Galafold (che può riguardare circa 1 persona su 10) è la cefalea.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Galafold, vedere il foglio illustrativo.

Perché Galafold è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Galafold sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE. L'Agenzia ha osservato che Galafold è stato studiato in un numero limitato di pazienti, tuttavia le prove disponibili sono considerate sufficienti per una malattia rara di questo tipo. L'Agenzia ha altresì considerato che Galafold è assunto per via orale e questo potrebbe essere un vantaggio rispetto ad altri trattamenti autorizzati come la terapia enzimatica sostitutiva, che vengono somministrati per infusione (flebo) in una vena. Quanto alla sicurezza, Galafold è stato ben tollerato.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Galafold?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Galafold sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Galafold

Galafold ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 26 maggio 2016.

Ulteriori informazioni su Galafold sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 07-2021.