



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Galafold (*migalastāts*)

*Galafold* pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir *Galafold* un kāpēc tās lieto?

*Galafold* ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pacientus no 12 gadu vecuma, kuriem ir Fābri slimība. Tā ir reta iedzimta slimība, kad pacientiem ir dažādas mutācijas (izmaiņas) gēnā, kas atbild par fermenta alfa-galaktozidāzes producēšanu. Šis ferments parasti noārda taukvielu, ko dēvē par globotriaozilkeramīdu (GL-3). Mutāciju rezultātā šis ferments nedarbojas pareizi un nevar noārdīt GL-3. Tas izraisa GL-3 uzkrāšanos dažādās organisma šūnās, tostarp sirdī un nierēs.

Fābri slimība ir "reta", un 2006. gada 22. maijā *Galafold* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368).

*Galafold* satur aktīvo vielu migalastātu.

### Kā lieto *Galafold*?

*Galafold* var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi Fābri slimības diagnostikā un ārstēšanā.

*Galafold* ir pieejamas kā kapsulas. Ieteicamā *Galafold* deva ir viena kapsula katru otro dienu. Pacienti nedrīkst lietot pārtiku vismaz 2 stundas pirms un 2 stundas pēc *Galafold* lietošanas, lai nodrošinātu pilnīgu uzsūkšanos.

*Galafold* ir paredzētas tikai pacientiem ar noteiktām alfa-galaktozidāzes A gēna mutācijām. Papildu informāciju par *Galafold* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

### Kā *Galafold* darbojas?

*Galafold* aktīvā viela migalastāts piesaistās noteiktām nestabilām alfa-galaktozidāzes A formām, stabilizējot šo fermentu. Tas ļauj šo fermentu transportēt šūnas daļās, kur tas var noārdīt 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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Kādi *Galafold* ieguvumi atklāti pētījumos?

*Galafold* tika pētītas divos pamatpētījumos, iesaistot kopumā 127 pacientus, kuri vecāki par 16 gadiem, ar Fābri slimību.

Pirmajā pētījumā, kurā salīdzināja *Galafold* ar placebo (fiktīvu ārstēšanu) 67 pacientiem, vērtēja to pacientu īpatsvaru, kuri reaģēja uz ārstēšanu (nosakot, ka GL-3 nogulšņu samazināšanās nierēs ir vismaz par 50 %). Kopumā nekonstatēja, ka *Galafold* būtu efektīvākas par placebo GL-3 nogulšņu samazināšanā, tomēr papildu analizēs, iesaistot tikai pacientus ar ģenētiskām mutācijām, ko var ārstēt ar *Galafold*, pierādīja, ka pēc 6 mēnešus ilgas ārstēšanas pacienti labāk reaģē uz *Galafold* nekā uz placebo.

Otrajā pētījumā, kurā piedalījās 60 pacienti, salīdzināja *Galafold* ar divām terapijām, kas aizstāj trūkstošo fermentu, proti, alfa-agalazīdāzi vai beta-agalazīdāzi. Galvenais efektivitātes rādītājs bija izmaiņas pacientu nieru darbībā pēc 18 nedēļu ārstēšanās. Šajā pētījumā konstatēja, ka *Galafold* ir tikpat efektīvas kā fermenta aizvietošana, lai stabilizētu pacientu nieru darbību.

Uzņēmums iesniedza arī pētījuma rezultātus, kuros tika pierādīts, ka *Galafold* organismā nodrošina tādu pašu aktīvās vielas līmeni un rada tādu pašu ietekmi uz pusaudžiem vecumā no 12 līdz 15 gadiem (ieskaitot) kā pieaugušajiem un jauniešiem vecumā no 16 gadiem.

## Kāds risks pastāv, lietojot *Galafold*?

Visbiežākā *Galafold* blakusparādība (kas var rasties apmēram 1 no 10 cilvēkiem) ir galvassāpes.

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Galafold*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

## Kāpēc *Galafold* ir reģistrētas ES?

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Galafold*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES. Aģentūra norādīja, ka, lai gan *Galafold* tika pētītas ierobežotam skaitam pacientu, tomēr pieejamie dati šādai retai slimībai ir uzskatāmi par pietiekamiem. Aģentūra arī norādīja, ka *Galafold* lieto iekšķīgi, un tas var radīt priekšrocības salīdzinājumā ar citām reģistrētām terapijām, piemēram, fermentu aizstājterapiju, ko ievada ar infūziju (pa pilienam) vēnā. Attiecībā uz drošumu *Galafold* bija labi panesamas.

## Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Galafold* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Galafold* lietošanu.

## Cita informācija par *Galafold*

2016. gada 26. maijā *Galafold* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Galafold* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold).

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2021. gada jūlijā.