



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Galafold (*migalastat*)

Ħarsa ġenerali lejn Galafold u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Galafold u għal xiex jintuża?

Galafold huwa medicina użata biex tikkura pazjenti li għandhom 12-il sena u aktar li għandhom il-marda ta' Fabry. Dan huwa disturb rari li jintiret fejn il-pazjenti jkollhom diversi mutazzjonijiet (bidliet) fil-ġene responsabbli għall-produzzjoni ta' enzima msejja alfa-galaktosidażi. Din l-enzima normalment tkisser sustanza xaħmija msejja globotrijaosilċerammid (GL-3). Minhabba l-mutazzjonijiet, l-enzima ma taħdimx kif suppost u ma tistax tkisser il-GL-3. Dan iwassal għal akkumulazzjoni ta' GL-3 f'diversi ċelloli fil-ġisem, inkluż fil-qalb u l-kliwi.

Il-marda ta' Fabry hija rari, u Galafold ġie denominat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fit-22 ta' Mejju 2006. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Galafold fih is-sustanza attiva migalastat.

Kif jintuża Galafold?

Galafold jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tiġi sorveljata minn tabib li jkun esperjenzat fid-dijanjożi u l-kura tal-marda ta' Fabry.

Galafold jiġi bħala kapsuli. Id-doża rakkomandata ta' Galafold hija ta' kapsula waħda kull jumejn. Il-pazjenti m'għandhomx jieħdu ikel mill-inqas sagħtejn qabel u sagħtejn wara li jieħdu Galafold biex ikun hemm assorbiment sħiħ.

Galafold huwa biss għall-użu f'pazjenti b'ċerti mutazzjonijiet fil-ġene alfa-galaktosidażi A. Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Galafold, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Galafold?

Is-sustanza attiva f'Galafold, il-migalastat, tehel ma' ċerti forom instabbli ta' alfa-galaktosidażi A, u b'hekk tistabbilizza l-enzima. Din tippermetti lill-enzima biex tiġi trasportata f'żoni taċ-ċellula fejn tista' tkisser il-GL-3.



X'inhuma l-benefiċċji ta' Galafold li ħarġu mill-istudji?

Galafold ġie studjat f'żewġ studji ewlenin li kienu jinvolvu 127 pazjent li għandhom aktar minn 16-il sena bil-marda ta' Fabry.

L-ewwel studju, li qabbel Galafold mal-plaċebo (kura finta) f'67 pazjent, ħares lejn il-proporzjon ta' pazjenti li rrispondew għall-kura (definit b'ħala t-tnaqqis ta' mill-inqas 50 % fid-depożiti tal-GL-3 fil-kliwi). B'mod ġenerali, Galafold ma nstabx li huwa iżjed effettiv mill-plaċebo fit-tnaqqis tad-depożiti tal-GL-3; madankollu, l-analiżijiet addizzjonali li jinkludu biss pazjenti b'dawk il-mutazzjonijiet ġenetiċi li jistgħu jiġu kkurati b'Galafold urew li l-pazjenti rrispondew aħjar għal Galafold milli għall-plaċebo wara 6 xhur ta' kura.

It-tieni studju, f'60 pazjent, qabbel Galafold mal-mediċini agalsidaži alfa jew agalsidaži beta, żewġ kuri li jissostitwixxu l-enzima nieqsa. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-funzjoni tal-kliwi tal-pazjenti wara 18-il xahar ta' kura. F'dan l-istudju, Galafold instab li huwa effettiv daqs is-sostituzzjoni tal-enzima fl-istabbilizzazzjoni tal-funzjoni tal-kliwi tal-pazjenti.

Il-kumpanija pprovdiet ukoll riżultati ta' studju li wrew li Galafold jipproduċi l-istess livelli tas-sustanza attiva fil-ġisem u għandu l-istess effett f'adolesxenti li għandhom 12-il sena sa u inkluż 15-il sena b'ħal fl-adulti u ż-żgħażaġh li għandhom 16-il sena u aktar.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Galafold?

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Galafold (li jista' jaffettwa madwar persuna 1 minn kull 10) huwa l-uġiġh ta' ras.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportati b'Galafold, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Galafold ġie awtorizzat fl-UE?

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Galafold huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE. L-Aġenzija nnotat li Galafold ġie studjat f'numru limitat ta' pazjenti, madankollu l-evidenza disponibbli hija meqjusa suffiċjenti għal marda rari b'ħal din. L-Aġenzija nnotat ukoll li Galafold jittieħed mill-ħalq u dan jista' jkun ta' vantaġġ meta mqabbel ma' kuri awtorizzati oħrajn b'has-sostituzzjoni tal-enzima li jingħataw permezz ta' infużjoni (dripp) fil-vina. Rigward is-sigurtà, Galafold kien ittollerat tajjeb.

X'mizuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Galafold?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawżjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Galafold.

Informazzjoni oħra dwar Galafold

Galafold irċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fis-26 ta' Mejju 2016.

Aktar informazzjoni dwar Galafold tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'07-2021.