



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Galafold (*migalastat*)

Przegląd wiedzy na temat leku Galafold i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Galafold i w jakim celu się go stosuje

Galafold jest lekiem stosowanym w leczeniu pacjentów w wieku od 12 lat z chorobą Fabry'ego. Jest to rzadkie zaburzenie dziedziczne, w którym u pacjentów występują różne mutacje (zmiany) w genie odpowiedzialnym za wytwarzanie enzymu zwanego alfa-galaktozydazą. Enzym ten zazwyczaj rozkłada substancję tłuszczową zwaną globotriaosyloceramidem (GL-3). W wyniku tych mutacji enzym nie działa prawidłowo i nie może rozkładać GL-3. Prowadzi to do gromadzenia się GL-3 w różnych komórkach w organizmie, w tym w sercu i nerkach.

Ze względu na to, że chorobę Fabry'ego uznano za rzadko występującą, w dniu 22 maja 2006 r. lek Galafold uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Substancją czynną zawartą w leku Galafold jest migalastat.

Jak stosować lek Galafold

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować wyłącznie lekarz z doświadczeniem w diagnozowaniu i leczeniu choroby Fabry'ego.

Lek Galafold jest dostępny w postaci kapsułek. Zalecana dawka leku Galafold to jedna kapsułka co drugi dzień. Aby umożliwić pełne wchłanianie, pacjenci nie powinni spożywać żadnych pokarmów co najmniej 2 godziny przed i 2 godziny po przyjęciu leku Galafold.

Galafold jest przeznaczony do stosowania wyłącznie u pacjentów z określonymi mutacjami w genie alfa-galaktozydazy A. Więcej informacji o sposobie stosowania leku Galafold znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.



Jak działa lek Galafold

Substancja czynna leku Galafold, migalastat, przyłącza się do niektórych niestabilnych postaci alfa-galaktozydazy A, stabilizując ten enzym. Umożliwia to transport enzymu do miejsc w komórce, gdzie może on rozkładać GL-3.

Korzyści ze stosowania leku Galafold wykazane w badaniach

Lek Galafold oceniano w dwóch badaniach głównych z udziałem łącznie 127 pacjentów w wieku powyżej 16 lat z chorobą Fabry'ego.

W pierwszym badaniu, w którym Galafold porównywano z placebo (leczenie pozorowane) u 67 pacjentów, obserwowano odsetek pacjentów, u których wystąpiła odpowiedź na leczenie (zdefiniowana jako zmniejszenie o co najmniej 50% ilości GL-3 zgromadzonego w nerkach). Ogólnie nie stwierdzono, aby lek Galafold był skuteczniejszy niż placebo pod względem zmniejszania ilości złogów GL-3; jednak dodatkowe badania obejmujące wyłącznie pacjentów z tymi mutacjami genetycznymi, w leczeniu których lek Galafold może być stosowany, wykazały, że pacjenci lepiej reagowali na Galafold niż na placebo po 6 miesiącach leczenia.

W drugim badaniu, z udziałem 60 pacjentów, porównywano Galafold z lekami o nazwie agalzydaza alfa lub agalzydaza beta – dwoma lekami, które zastępują brakujący enzym. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana czynności nerek u pacjentów po 18 miesiącach leczenia. W badaniu tym wykazano, że Galafold jest równie skuteczny jak enzymatyczna terapia zastępcza pod względem stabilizowania czynności nerek u pacjentów.

Firma przedstawiła również wyniki badania, w którym wykazano, że Galafold wytwarza takie same poziomy substancji czynnej w organizmie i ma takie samo działanie u młodzieży w wieku od 12 do 15 lat włącznie, jak u osób dorosłych i młodych w wieku od 16 lat.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Galafold

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku Galafold (mogące wystąpić u około 1 na 10 pacjentów) to ból głowy.

Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Galafold znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Galafold w UE

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Galafold przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE. Agencja zauważyła, że lek Galafold badano u ograniczonej liczby pacjentów, jednak dostępne dowody uznano za wystarczające w przypadku takiej rzadkiej choroby. Agencja zauważyła również, że lek Galafold przyjmuje się doustnie, co może stanowić korzyść w porównaniu z innymi zatwierdzonymi metodami leczenia, takimi jak enzymatyczna terapia zastępcza, którą podaje się we wlewie dożylnym (kroplówce). Jeśli chodzi o bezpieczeństwo, Galafold był dobrze tolerowany.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Galafold

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Galafold w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące Galafold

Lek Galafold otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 26 maja 2016 r.

Dalsze informacje na temat leku Galafold znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Data ostatniej aktualizacji: 07.2020.