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

Galafold (*migalastát*)

Prehľad o lieku Galafold a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Galafold a na čo sa používa?

Galafold je liek, ktorý sa používa na liečbu pacientov vo veku 12 rokov a starších, ktorí majú Fabryho chorobu. Ide o zriedkavú dedičnú poruchu, pri ktorej pacienti majú rôzne mutácie (zmeny) génu zodpovedného za vytváranie enzýmu s názvom alfa-galaktozidáza. Tento enzým zvyčajne rozkladá mastnú látku globotriaosylceramid (GL-3). V dôsledku mutácií enzým nepôsobí správne a nemôže rozkladať GL-3. To vedie k ukladaniu GL-3 v rôznych bunkách v tele vrátane srdca a obličiek.

Fabryho choroba je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Galafold 22. mája 2006 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Liek Galafold obsahuje liečivo migalastát.

Ako sa liek Galafold užíva?

Výdaj lieku Galafold je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať iba lekár, ktorý má skúsenosti s diagnostikou a liečbou Fabryho choroby.

Liek Galafold je k dispozícii vo forme kapsúl. Odporúčaná dávka lieku Galafold je jedna kapsula každý druhý deň. Pacienti nemajú konzumovať žiadne jedlo najmenej dve hodiny pred užitím lieku Galafold a dve hodiny po ňom, aby sa umožnila úplná absorpcia.

Liek Galafold sa používa len u pacientov s určitými mutáciami v géne alfa-galaktozidázy. Viac informácií o používaní lieku Galafold si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Galafold účinkuje?

Liečivo lieku Galafold, migalastát, sa viaže na určité nestabilné formy alfa-galaktozidázy A, čím sa enzým stabilizuje. To umožňuje transport enzýmu do oblastí bunky, kde môže rozkladať GL-3.

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

Aké prínosy lieku Galafold boli preukázané v štúdiách?

Liek Galafold sa skúmal v dvoch hlavných štúdiách, ktorých sa zúčastnilo celkovo 127 pacientov starších ako 16 rokov s Fabryho chorobou.

V prvej štúdii, v ktorej sa liek Galafold porovnával s placebom (zdanlivým liekom) u 67 pacientov, sa skúmal počet pacientov, ktorí odpovedali na liečbu (odpoveď bola vymedzená ako zníženie depozitov GL-3 v obličkách aspoň o 50 %). Celkovo sa nezistilo, že liek Galafold je pri znížení depozitov GL-3 účinnejší ako placebo. Ďalším analýzami vrátane analýz zahŕňajúcich len pacientov s genetickými mutáciami, ktoré sa dajú liečiť liekom Galafold, sa však preukázalo, že pacienti odpovedali po šiestich mesiacoch liečby lepšie na liek Galafold ako na placebo.

V druhej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 60 pacientov, sa porovnával liek Galafold s liekmi agalzidáza alfa alebo agalzidáza beta, čo sú dve liečby, ktoré nahrádzajú chýbajúci enzým. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena funkcie obličiek u pacientov po 18 mesiacoch liečby. V tejto štúdii sa zistilo, že liek Galafold je pri stabilizácii funkcie obličiek u pacientov rovnako účinný ako substitučná enzýmová liečba.

Spoločnosť predložila aj výsledky štúdie, v ktorej sa preukázalo, že liek Galafold vytvára v tele rovnakú hladinu liečiva a má rovnaký účinok u dospievajúcich vo veku od 12 do 15 rokov vrátane ako u dospelých a mladých ľudí vo veku 16 rokov a starších.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Galafold?

Najčastejší vedľajší účinok lieku Galafold (ktorý môže postihnúť asi 1 osobu z 10) je bolesť hlavy.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Galafold a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Galafold povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Galafold sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ. Agentúra poznamenala, že liek Galafold sa skúmal u obmedzeného počtu pacientov, avšak dostupné dôkazy sa považujú za dostatočné pre takéto zriedkavé ochorenie. Agentúra tiež poznamenala, že liek Galafold sa užíva cez ústa, čo by mohlo byť výhodou v porovnaní s inými schválenými liečbami, ako je substitučná enzýmová liečba, ktoré sa podávajú formou infúzie (na kvapkanie) do žily. Pokiaľ ide o bezpečnosť, liek Galafold bol dobre znášaný.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Galafold?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Galafold boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Galafold

Lieku Galafold bolo dňa 26. mája 2016 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Galafold sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 07-2021