



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Galafold (*migalastat*)

Pregled zdravila Galafold in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Galafold in za kaj se uporablja?

Galafold je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov, starejših od 12 let, ki imajo Fabryjevo bolezen. To je redka prirojena motnja, pri kateri imajo bolniki različne mutacije (spremembe) v genu, ki proizvaja encim, imenovan α -galaktozidaza. Ta encim običajno razgradi maščobno snov, imenovano globotriaosilceramid (GL-3). Zaradi mutacij encim ne deluje pravilno in ne more razgraditi GL-3. To povzroči kopičenje GL-3 v različnih celicah v telesu, vključno s srcem in ledvicami.

Fabryjeva bolezen je redka, zato je bilo zdravilo Galafold 22. maja 2006 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Vsebuje učinkovino migalastat.

Kako se zdravilo Galafold uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Galafold je le na recept, zdravljenje z njim pa lahko uvede in nadzoruje le zdravnik z izkušnjami z diagnosticiranjem in zdravljenjem Fabryjeve bolezni.

Zdravilo Galafold je na voljo v obliki kapsul. Priporočeni odmerek zdravila Galafold je ena kapsula vsak drugi dan. Bolniki vsaj dve uri pred jemanjem zdravila Galafold in dve uri po njem ne smejo zaužiti nobene hrane, da se omogoči polna absorpcija.

Zdravilo Galafold se uporablja le pri bolnikih z določenimi mutacijami v genu α -galaktozidaza A. Za več informacij glede uporabe zdravila Galafold glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Galafold deluje?

Učinkovina v zdravilu Galafold, migalastat, se veže na določene nestabilne oblike α -galaktozidaze A in s tem stabilizira encim. To omogoča encimu, da se razmešča v območja v celici, kjer lahko razgradi GL-3.



Kakšne koristi zdravila Galafold sp se pokazale v študijah?

Zdravilo Galafold so raziskovali v dveh glavnih študijah, ki so vključevale skupno 127 bolnikov s Fabryjevo boleznijo, starejših od 16 let.

Prva študija, kjer so primerjali zdravilo Galafold s placebom (zdravilom brez učinkovine) pri 67 bolnikih, se je osredotočila na delež bolnikov, ki so se odzvali na zdravljenje (kar je opredeljeno kot zmanjšanje kopičenja GL-3 v ledvicah za vsaj 50 %). V splošnem ni bilo ugotovljeno, da bi bilo zdravilo Galafold pri zmanjševanju kopičenja GL-3 učinkovitejše kot placebo; vendar pa so dodatne analize, ki so vključevale le bolnike z genskimi mutacijami, ki se lahko zdravijo z zdravilom Galafold, pokazale, da so se bolniki po 6 mesecih zdravljenja na zdravilo Galafold odzvali bolje kot na placebo.

V drugi študiji s 60 bolniki so primerjali zdravilo Galafold z zdraviloma agalزيدa alfa in agalزيدa beta, ki nadomestita manjkajoči encim. Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba v delovanju ledvic bolnikov po 18 mesecih zdravljenja. V tej študiji se je zdravilo Galafold pri stabiliziranju delovanja ledvic bolnikov izkazalo za enako učinkovito kot encimsko nadomestno zdravljenje.

Podjetje je predložilo tudi rezultate študije, ki so pokazali, da zdravilo Galafold proizvede enake ravni učinkovine v telesu in ima enak učinek pri mladostnikih, starih od 12 do vključno 15 let, kot pri odraslih in mladih, starih 16 let in več.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Galafold?

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Galafold (ki se lahko pojavi pri približno 1 od 10 oseb) je glavobol.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Galafold glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Galafold odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Galafold večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU. Odbor je opozoril, da je bilo zdravilo Galafold raziskano pri omejenem številu bolnikov, vendar so se razpoložljivi dokazi šteli kot zadostni za tako redko bolezen. Odbor CHMP je prav tako opozoril, da se zdravilo Galafold jemlje peroralno, kar bi bila lahko prednost v primerjavi z ostalimi odobrenimi zdravili, kot je encimsko nadomestno zdravljenje, kjer se zdravilo daje z infundiranjem (kapljično infuzijo) v veno. Kar se tiče varnosti, so bolniki zdravilo Galafold dobro prenašali.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Galafold?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Galafold upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Druge informacije o zdravilu Galafold

Za zdravilo Galafold je bilo 26. maja 2016 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Galafold so na voljo na spletni strani agencije:

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

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 07-2021.