



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Galafold (*migalastat*)

Um resumo sobre Galafold e porque está autorizado na UE

### O que é Galafold e para que é utilizado?

Galafold é um medicamento utilizado no tratamento de doentes com idade igual ou superior a 12 anos com doença de Fabry. Trata-se de uma doença hereditária rara em que os doentes têm várias mutações (alterações) no gene responsável pela produção de uma enzima denominada alfa-galactosidase. Esta enzima decompõe normalmente uma substância gorda denominada globotriaosilceramida (GL-3). Como resultado das mutações, a enzima não funciona adequadamente e não consegue decompor a GL-3. Isto leva a uma acumulação da GL-3 em várias células do organismo, incluindo no coração e nos rins.

A doença de Fabry é uma doença rara, e Galafold foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 22 de maio de 2006. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368).

Galafold contém a substância ativa migalastat.

### Como se utiliza Galafold?

Galafold só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento só deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no diagnóstico e tratamento da doença de Fabry.

Galafold está disponível na forma de cápsulas. A dose recomendada de Galafold é de uma cápsula em dias alternados. Os doentes não devem consumir alimentos pelo menos 2 horas antes e 2 horas após a toma de Galafold, de modo a permitir a sua completa absorção.

Galafold só está indicado para uso em doentes que possuam determinadas mutações no gene alfa-galactosidase A. Para mais informações sobre a utilização de Galafold, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

---

**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



## **Como funciona Galafold?**

A substância ativa de Galafold, o migalastat, liga-se a determinadas formas instáveis de alfa-galactosidase A, estabilizando a enzima. Isto permite que a enzima seja transportada para áreas da célula onde pode decompor a GL-3.

## **Quais os benefícios demonstrados por Galafold durante os estudos?**

Galafold foi investigado em dois estudos principais que incluíram um total de 127 doentes com idade superior a 16 anos com doença de Fabry.

O primeiro estudo, que comparou Galafold com um placebo (tratamento simulado) em 67 doentes, analisou a percentagem de doentes que responderam ao tratamento (definida como uma redução de pelo menos 50 % nos depósitos de GL-3 nos rins). Globalmente, Galafold não demonstrou ser mais eficaz do que o placebo na redução dos depósitos de GL-3; contudo, as análises adicionais que incluíram apenas os doentes com as mutações genéticas que podem ser tratadas com Galafold demonstraram uma melhor resposta dos doentes a Galafold do que ao placebo após 6 meses de tratamento.

O segundo estudo, que incluiu 60 doentes, comparou Galafold com os medicamentos agalsidase alfa ou agalsidase beta (dois tratamentos que repõem a enzima em falta). O principal parâmetro de eficácia foi a alteração na função renal dos doentes após 18 meses de tratamento. Neste estudo, Galafold demonstrou ser tão eficaz como a reposição enzimática na estabilização da função renal dos doentes.

A empresa também apresentou os resultados de um estudo que demonstrou que Galafold produz os mesmos níveis da substância ativa no organismo e tem o mesmo efeito em adolescentes com idades compreendidas entre os 12 e os 15 anos, inclusive, que em adultos e jovens com idades iguais ou superiores a 16 anos.

## **Quais são os riscos associados a Galafold?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Galafold (que podem afetar cerca de 1 em cada 10 pessoas) são dores de cabeça.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização relativamente a Galafold, consulte o Folheto Informativo.

## **Porque está Galafold autorizado na UE?**

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Galafold são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE. A Agência referiu que Galafold foi estudado num número limitado de doentes, mas considerou que as evidências disponíveis são suficientes para esta doença rara. A Agência constatou também que Galafold é tomado por via oral, o que poderá constituir uma vantagem em comparação com outros tratamentos autorizados, como a reposição enzimática, que são administrados por perfusão (gota a gota) numa veia. Quanto à segurança, Galafold foi bem tolerado.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Galafold?**

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Galafold.

## **Outras informações sobre Galafold**

A 26 de maio de 2016, Galafold recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Mais informações sobre Galafold podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold).

Este resumo foi atualizado pela última vez em 07-2021.