



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Galafold (*migalastat*)

Sammanfattning av Galafold och varför det är godkänt inom EU

Vad är Galafold och vad används det för?

Galafold är ett läkemedel som används för att behandla patienter från 12 års ålder med Fabrys sjukdom. Detta är en sällsynt ärftlig sjukdom som innebär att patienterna har olika mutationer (förändringar) i den gen som ansvarar för att producera ett enzym som kallas alfa-galaktosidas. Detta enzym bryter normalt ner en fettsubstans som kallas globotriaosylceramid (GL-3). Till följd av mutationerna fungerar inte enzymet som det ska och kan inte bryta ner GL-3. Detta leder till att GL-3 ansamlas i olika celler i kroppen, bland annat i hjärtat och njurarna.

Fabrys sjukdom är sällsynt och Galafold klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 22 maj 2006. Mer information om klassificeringen som sär-läkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu306368.

Galafold innehåller den aktiva substansen migalastat.

Hur används Galafold?

Galafold är receptbelagt och behandling ska endast påbörjas och övervakas av en läkare med erfarenhet av diagnostisering och behandling av Fabrys sjukdom.

Galafold finns som kapslar. Den rekommenderade dosen Galafold är en kapsel varannan dag. Patienterna ska inte äta något under minst 2 timmar innan de tar Galafold och under 2 timmar efter att de tagit Galafold för att möjliggöra fullständig absorption.

Galafold får endast ges till patienter med vissa mutationer i alfa-galaktosidas A-genen. För mer information om hur du använder Galafold, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Galafold?

Den aktiva substansen i Galafold, migalastat, binder till vissa instabila former av alfa-galaktosidas A, vilket stabiliserar enzymet. Detta gör att enzymet kan transporteras till områden i cellen där det kan bryta ner GL-3.

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

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Vilka fördelar med Galafold har visats i studierna?

Galafold har undersökts i två huvudstudier på sammanlagt 127 patienter över 16 år med Fabrys sjukdom.

I den första studien, där Galafold jämfördes med placebo (overksam behandling) hos 67 patienter, undersöktes hur stor andel av patienterna som svarade på behandling (vilket definieras som en minskning på minst 50 procent av GL-3-inlagringarna i njurarna). Totalt sett visade sig Galafold inte vara effektivare än placebo när det gäller att minska GL-3-inlagringarna; men ytterligare analyser som endast innefattade patienter med de genetiska mutationer som kan behandlas med Galafold visade att patienterna svarade bättre på Galafold än på placebo efter 6 månaders behandling.

I den andra studien, på 60 patienter, jämfördes Galafold med läkemedlen agalsidas alfa eller agalsidas beta, två behandlingar som ersätter det saknade enzymet. Huvudmålet på effekt var förändringen av patienternas njurfunktion efter 18 månaders behandling. I denna studie fann man att Galafold var lika effektivt som enzymsättning när det gäller att stabilisera patienternas njurfunktion.

Företaget tillhandahöll också resultat från en studie som visade att Galafold bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen och har samma effekt hos ungdomar i åldern 12–15 år som hos vuxna och ungdomar som är 16 år och äldre.

Vilka är riskerna med Galafold?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Galafold (kan förekomma hos omkring 1 av 10 användare) är huvudvärk.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Galafold finns i bipacksedeln.

Varför är Galafold godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Galafold är större än riskerna och att Galafold kan godkännas för försäljning i EU. EMA noterade att Galafold hade undersökts på ett begränsat antal patienter, men att de tillgängliga beläggen anses tillräckliga med tanke på hur sällsynt denna sjukdom är. EMA noterade även att Galafold tas genom munnen och att detta kan vara en fördel jämfört med andra godkända behandlingar såsom enzymsättning som ges genom infusion (dropp) i en ven. Vad gäller säkerheten tolererades Galafold väl.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Galafold?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Galafold har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Galafold

Den 26 maj 2016 beviljades Galafold ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Galafold finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/galafold.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 07-2021.