

מרץ 2024

רוקח/ת נכבד/ה,

רופא/ה נכבד/ה,

הנדון: אושרה הרחבת התוויה- הורדת גיל המשתמשים מגיל 16 לגיל 12 שנים ומעלה

עדכון עלונים לרופא ולצרכן עבור התכשיר

Galafold 123 mg

hard capsules

גאלאפולד 123 מ"ג

קפסולות קשיחות

Active ingredient:

החומר הפעיל:

MIGALASTAT (AS HYDROCHLORIDE) 123 mg

ההתוויה העדכנית המאושרת לתכשיר:

Galafold is indicated for long-term treatment of adults and adolescents aged **12** years and older with a confirmed diagnosis of Fabry disease (α -galactosidase A deficiency) and who have an amenable mutation.

חברת תרומד בע"מ מבקשת להודיע כי אושרה הורדת גיל המטופלים בתכשיר מגיל 16 לגיל 12 שנים ומעלה. העלונים לרופא ולצרכן של התכשיר גאלאפולד 123 מ"ג, עודכנו בהתאם במרץ 2024.

בהודעה זו מצוינים העדכונים העיקריים: עדכון המהווה החמרה - מודגש **בצהוב**. טקסט שנמחק מסומן בקו חוצה (טקסט), טקסט שהוסף מסומן בצבע (טקסט).

בעלונים קיימים עדכונים נוספים שאינם מהווים החמרות.

העלונים המעודכנים נשלחו לפרסום במאגר התרופות שבאתר האינטרנט של משרד הבריאות וניתן לקבלם מודפסים ע"י פנייה לבעל הרישום: תרומד בע"מ, רחוב בני גאון 10, פארק תעשייה פולג, ת.ד. 8105, דרום נתניה 4250499.

בכבוד רב,

רבקה סלונים

רוקחת ממונה

4.1 Therapeutic indications

Galafold 123mg is indicated for long-term treatment of adults and adolescents aged ~~12~~ ~~16~~-years and older with a confirmed diagnosis of Fabry disease (α -galactosidase A deficiency) and who have an amenable mutation (see the table in section 5.1).

4.2 Posology and method of administration

[...]

Posology

The recommended dosage regimen ~~in adults and adolescents 16 years and older~~ is 123 mg migalastat (1 capsule) ~~taken~~ once every other day at the same time of day.

[...]

Paediatric population

Adolescents aged ≥ 12 to < 18 years and weighing ≥ 45 kg

123 mg migalastat (1 capsule) taken once every other day at the same time of the day (see section 5.2).

Children < 12 years

The safety and efficacy of Galafold 123mg in children aged less than ~~16~~-12 years have not yet been established. No data are available.

4.4 Special warnings and precautions for use

[...]

Paediatric population

123 mg migalastat capsules are not for children (≥ 12 years) weighing less than 45 kg (see section 5.2).

4.8 Undesirable effects

[...]

Adolescent population

The safety assessment in 21 adolescents (12 to < 18 years of age and weighing ≥ 45 kg) is based on 1-year safety data from the open label AT1001-020 trial in which subjects received the same dosage



regimen as adults (see section 5.2). No age-specific differences in adverse reactions were observed between adolescent and adult subjects. The frequency, type and severity of adverse reactions in adolescents are expected to be the same as in adults based on these data.

5.1 Pharmacodynamic properties

[...]

Paediatric population

In Study AT1001-020, a 1-year, Phase 3b, open-label, uncontrolled, multicenter study, the safety, PK, pharmacodynamic (PD), and efficacy of migalastat treatment was evaluated in 21 adolescent subjects (12 to < 18 years of age and weighing ≥ 45 kg) with Fabry disease and who have amenable mutations of the gene encoding α -galactosidase A (*GLA*). Subjects were either naïve to enzyme replacement therapy (ERT) or had stopped ERT at least 14 days before screening. The mean number of years since diagnosis of Fabry disease was 10.2 (± 4.12) years.

At 1 year, the efficacy results in adolescents on the same dosing regimen as adults were consistent in renal, cardiac, and pharmacodynamic results as well as responses to patient-reported outcomes. The overall mean (SD) change from baseline in eGFR was -1.6 (15.4) mL/min/1.73 m² (n=19). The overall mean (SD) change from baseline for LVMi was -3.9 (13.5) g/m² (n=18). LVMi decreased in 10 subjects and increased in 8 subjects, but all subjects remained within normal limits at 12 months. Baseline plasma lyso-Gb₃ was 12.00 ng/mL and the overall mean (SD) change from baseline in plasma lyso-Gb₃ was -0.06 (32.9) (n=19). A reduction in plasma lyso-Gb₃ from baseline was observed in ERT-naïve subjects (median -2.23 ng/ml, n=9) and levels remained generally stable in ERT-experienced subjects (median 0.54 ng/ml, n=10). There were no notable changes in patient reported outcomes

5.2 Pharmacokinetic properties

[...]

Paediatric population

The pharmacokinetics of migalastat were characterised in 20 adolescent subjects (12 to < 18 years and weighing ≥ 45 kg) with Fabry disease who received the same dosage regimen as adults (123 mg migalastat capsule every other day) in an open label phase 3b trial (AT1001-020).

Assessment of bioequivalence of exposure was simulated in adolescent subjects (12 to < 18 years) weighing ≥ 45 kg and receiving migalastat 123 mg once every other day compared to adults receiving the same dosing regimen. Model derived AUC_{tau} in adolescent subjects (12 to < 18 years) were similar to adult exposures.

[...]

העלון לצרכן עודכן בסעיפים הבאים:

[..]

התרופה מיועדת למבוגרים, ולמתבגרים מגיל 12-46 שנים בעלי שינויים (מוטציות) גנטיים מסוימים.

1. למה מיועדת התרופה?

גאלאפולד 123 מ"ג מיועדת לטיפול ארוך טווח במבוגרים ובמתבגרים מגיל 12-46 עם אבחנה מאומתת של מחלת פברי (פגיעה בפעילות האנזים אלפא-גלקטוזידאז A) ושהינם בעלי "מוטציות מגיבות".

2. לפני שימוש בתרופה

[..]

אזהרות מיוחדות הנוגעות לשימוש בתרופה:

קפסולות של 123 מ"ג מיגאלאסטאט אינן מיועדות לילדים בגיל 12 שנים או מבוגרים יותר, השוקלים פחות מ 45 ק"ג.

[...]

ילדים ומתבגרים

ילדים מתחת לגיל 12 שנים (<12)

תרופה זו לא נחקרה בילדים ומתבגרים מתחת לגיל 16 שנים, לכן אין מידע מבוסס לגבי בטיחות ויעילות השימוש בקבוצת גילאים זו, הבטיחות והיעילות בקבוצת גיל זו אינן מבוססות.