



WAR CG notulen migalastat (Galafold®) migalastat (Galafold®) bij langdurige behandeling van volwassenen en jongeren van 12 jaar en ouder met een bevestigde diagnose van de ziekte van Fabry (α -galactosidase A-deficiëntie) en die een behandelbare mutatie hebben, eerste bespreking

10 juli 2023

FT-rapport

De referenten kunnen zich vinden in de uitkomst van de door het Zorginstituut verrichte analyse van de nieuwe klinische data, die de registratiehouder heeft aangeleverd. Volgens de WAR is er geen wetenschappelijk valide basis om de conclusie van de initiële beoordeling (2017: 'voldoet niet aan stand van de wetenschap en de praktijk') te herzien. In het rapport zou aanpassing van de leeftijdsgrenzen van de populatie in de aanvullende studies [van > 16 jaar (2017) naar > 12 jaar (2023)] op zijn plaats zijn. Een WAR-lid merkt op dat volgens de meest recente klinisch-wetenschappelijke inzichten vroege(re), effectieve behandeling van de ziekte van Fabry het verdere ziekteverloop gunstig lijkt te beïnvloeden. Het Zorginstituut zal de aanvullende opmerkingen in het FT-rapport verwerken. De WAR gaat tenslotte unaniem akkoord met de concepteindconclusies van het FT-rapport. Migalastat (Galafold®) voldoet niet aan de stand van de wetenschap en praktijk.

migalastat (Galafold®) bij langdurige behandeling van volwassenen en jongeren van 12 jaar en ouder met een bevestigde diagnose van de ziekte van Fabry (α-galactosidase A-deficiëntie) en die een behandelbare mutatie hebben, tweede bespreking

Zorginstituut Nederland

6 november 2023

FT:

De beoordelaar licht het FT-rapport toe en stelt de vragen zoals vermeld op de voorlegger.

Reactie van de WAR:

De WAR is het eens met de eindconclusie, de antwoordbrieven en het FT-rapport. De WAR ziet in migalastat echter geen geschikte kandidaat voor een voorwaardelijk toelatingstraject (VT-traject). Het verwachte aantal patiënten (n=2), dat geïnccludeerd kan worden is zo laag dat er naar verwachting binnen een redelijke termijn niet genoeg power kan wordt behaald om betrouwbare conclusies te kunnen trekken over de effectiviteit en veiligheid van migalastat. Hierbij dient ook te worden overwogen dat migalastat in andere landen reeds gebruikt wordt, en er al internationale studies lopen naar de langetermijneffecten van migalastat. De WAR ziet in deze context geen toegevoegde waarde in een VT-traject. De WAR adviseert wel om te onderzoeken of het mogelijk is om de patiënten, die in Nederland voor behandeling met migalastat in aanmerking zouden (kunnen) komen, te betrekken in de lopende internationale studies.

Conclusie:

Migalastat voldoet *niet* aan de stand van de wetenschap en praktijk voor de behandeling van patiënten vanaf 12 jaar met de ziekte van Fabry, die een behandelbare mutatie hebben en een eGFR van > 30 ml/min/1,72 m². Op basis van de nu beschikbare data heeft migalastat geen gelijke waarde met enzymvervangende therapie (ERT).