

## **A Multicare Pharmaceuticals em parceria com a Amicus Therapeutics recebe aprovação sanitária do Galafold® (migalastate) da ANVISA**

***Primeiro medicamento de precisão e de administração oral no Brasil para pessoas que sofrem de Doença de Fabry com mutação genética suscetível à substância. Esta é a segunda aprovação regulatória na América Latina.***

A Multicare Pharmaceuticals anunciou que a Agência Nacional de Vigilância Sanitária do Brasil (ANVISA), consentiu a aprovação do Galafold®(migalastate) - uma pequena molécula chamada chaperona farmacológica e a primeira na classe terapêutica. O medicamento funcionará como monoterapia para o tratamento de pessoas de 16 anos ou mais e com diagnóstico confirmado de doença de Fabry (deficiência de alfa-galactosidase A) e que possuam mutação genética suscetível.

A Multicare Pharmaceuticals firmou parceria com a Amicus Therapeutics para atuar como a Detentora Brasileira da Autorização de Comercialização e preencherá os requisitos para lançar o Galafold® nos próximos meses. O Brasil representa a segunda aprovação para o Galafold® na América Latina; pedidos adicionais de autorizações para introdução no mercado nesta importante região estão em revisão e/ou planejados. Dario Baldini, diretor de assuntos estratégicos na Multicare Pharmaceuticals declarou: “A aprovação do Galafold® representa um marco para os pacientes que vivem com a doença de Fabry no Brasil. A aprovação é uma importante etapa para obter uma autorização para introdução completa no mercado nacional do medicamento. O governo, e neste caso a ANVISA, dedicou muita atenção a produtos para doenças raras, o que representa uma importante evolução para o benefício dos pacientes”.

A entrada de Galafold® no Brasil é o resultado de uma parceria produtiva entre a Multicare Pharmaceuticals, empresa farmacêutica nacional, e a Amicus Therapeutics, que realizou a pesquisa sobre a molécula de migalastate e lançou o produto em mais de 25 países, inclusive na América Latina. “Junto com nossos parceiros no Brasil, a Multicare Pharmaceuticals, estamos entusiasmados com a aprovação de Galafold®, nosso medicamento de precisão oral para a doença de Fabry no Brasil”, declarou John F. Crowley, presidente e diretor executivo da Amicus Therapeutics. “Estima-se que milhares de pessoas vivam com Fabry na América Latina como um todo, portanto, esta aprovação no Brasil é uma importante etapa para os nossos esforços de prestar suporte às pessoas afetadas pela doença e com mutações genéticas suscetíveis na América Latina, disponibilizando um novo tratamento que tem o potencial de transformar vidas”.

“Estamos ansiosos e seguros em poder trazer Galafold® para o Brasil já que isto é o início do nosso trabalho. Trazendo um produto inovador que seguramente atenderá às muitas necessidades não atendidas e de muitos pacientes com doença de Fabry. A concessão sanitária do Galafold® representa a consolidação da Multicare Pharmaceuticals em sua nova trajetória como uma empresa farmacêutica nacional, já sinalizando um futuro promissor para novas conquistas para a saúde pública no Brasil”, conclui Baldini.

Graças à legislação específica da ANVISA - Resolução da Diretoria Colegiada - RDC nº 205, de 28 de dezembro de 2017, que estabelece um procedimento de análise acelerado para o consentimento do registro sanitário de novos medicamentos para doenças raras, proporcionando maior agilidade na análise de solicitações de registro, o Brasil tem sido colocado em destaque no assunto. No caso de Galafold®, este procedimento ágil de análise

levou entre seis e oito meses, muito mais rápido, mesmo quando comparado a diversos países europeus. A ANVISA tem avaliado o Galafold® desde maio deste ano e a próxima etapa para o lançamento será a negociação de preço com a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). A bula brasileira inclui mais de 350 mutações do gene GLA identificadas e determinadas como suscetíveis ao medicamento com base no teste de suscetibilidade *in vitro* para o Galafold®. Estima-se que entre 35% e 50% das pessoas diagnosticadas com doença de Fabry possam apresentar uma mutação de GLA suscetível ao Galafold®. Além do Brasil e Argentina, o Galafold® já é aprovado e disponível na Austrália, Canadá, União Europeia, Israel, Japão, Coreia do Sul, Suíça e EUA.

### **Sobre Galafold® e as mutações suscetíveis**

A doença de Fabry é uma doença genética rara e uma condição potencialmente de risco à vida causada pelo acúmulo de substrato da doença (globotriaosilceramida, GL-3) no lisossomo devido à disfunção ou deficiência enzimática. Em pacientes com uma mutação suscetível, o Galafold® (migalastate) atua ao estabilizar a própria disfunção enzimática do corpo, de modo que possa entrar no lisossomo. Uma vez dentro do lisossomo, o Galafold® se separa da enzima, permitindo a quebra do substrato. Mutação suscetível é aquela que resulta em uma enzima que pode ser estabilizada pelo Galafold®. A suscetibilidade é determinada com base em uma análise *in vitro* própria (Teste de Suscetibilidade ao Galafold®).

Os profissionais médicos no Brasil poderão acessar o website <http://www.galafoldamenabilitytable.com/hcp> para verificar se a mutação de GLA de seu paciente está dentre as classificadas como “suscetíveis” ou “não suscetíveis” ao Galafold®. A Amicus é responsável pelas necessárias atualizações periódicas do conteúdo do website à medida que mutações adicionais de GLA são identificadas e testadas no teste de suscetibilidade ao Galafold®.

### **Sobre a Doença de Fabry**

A doença de Fabry é uma doença de depósito lisossômico herdado causado pela deficiência de uma enzima denominada alfa-galactosidase A (alfa-Gal A) resultante das mutações no gene GLA. A função principal de alfa-Gal A é degradar lipídios específicos dentro dos lisossomos nas células do organismo, inclusive a globotriaosilceramida (denominada GL-3 e também conhecida como Gb<sub>3</sub>). Os lipídios que são degradados pela ação de alfa-Gal A são denominados "substratos" da ação da enzima. Níveis reduzidos ou ausentes de atividade de alfa-Gal A levam ao acúmulo de GL-3 nos tecidos afetados, inclusive coração, rins e pele. Acredita-se que o acúmulo de GL-3 e a deterioração progressiva da função do órgão levem à morbidade e mortalidade na doença de Fabry. Os sintomas podem ser graves, diferem de pessoa para pessoa e se iniciam em idade precoce.

### **Sobre a Multicare Pharmaceuticals Ltda**

Com o objetivo claro de disponibilizar opções terapêuticas de tecnologia avançada para pacientes com doenças raras e complexas no Brasil, a Multicare Pharmaceuticals iniciou suas operações no mercado em 2013 fornecendo, desde então, suporte a pacientes no acesso a tais opções de tratamento, que, embora já adequadamente estudadas, aprovadas e comercializadas em outros países, ainda não possuem registro no Brasil. Com tal expertise, profissionalismo e adequação, a Multicare tornou-se um dos principais fornecedores destes medicamentos, colocando-se apta para também atender a solicitações específicas do Ministério da Saúde e Departamentos de Saúde de Estado.

Esta experiência extensa e específica, tanto nas áreas públicas quanto privadas, permitiu à empresa compreender melhor e vivenciar as necessidades e expectativas dos pacientes brasileiros, bem como dificuldades e desafios do sistema de saúde no cenário de doenças raras e complexas no Brasil.

Esse conhecimento e sentimento inspiraram e orientaram a direção da empresa em sua decisão de expandir suas operações no mercado ao se reestruturar como uma empresa farmacêutica brasileira cujo foco é contribuir de forma eficaz para atender às necessidades atuais e emergentes da gestão de doenças raras e altamente complexas. No Brasil, por meio da constante busca e do estabelecimento de parceria com empresas internacionais reconhecidas de pesquisa e desenvolvimento de medicamentos, a Multicare Pharmaceuticals tem como objetivo obter a concessão de comercialização e o registro sanitário no Brasil de opções terapêuticas inovadoras, de tecnologia avançada e pertencentes ao arsenal mais moderno de medicina de precisão mundial.

### **Sobre a Amicus Therapeutics**

A Amicus Therapeutics (Nasdaq: FOLD) é uma empresa de biotecnologia global dedicada aos pacientes e focada no descobrimento, desenvolvimento e fornecimento de novos medicamentos de alta qualidade para pessoas que vivem com doenças metabólicas raras. Com extraordinário foco no benefício ao paciente, a Amicus é comprometida em avançar e expandir seu robusto portfólio de medicamentos inovadores e de primeira linha para doenças metabólicas raras. Para mais informações, visite o website da empresa em [www.amicusrx.com](http://www.amicusrx.com), e siga no [Twitter](#) e [LinkedIn](#).