



Algunas cosas necesitan mucho tiempo. Una píldora para la enfermedad de Fabry no es una de ellas.

Galafold® (migalastat) es la primera y única terapia oral para adultos con enfermedad de Fabry confirmada y una variante de *GLA* susceptible.

Información de seguridad importante

¿Qué es Galafold?

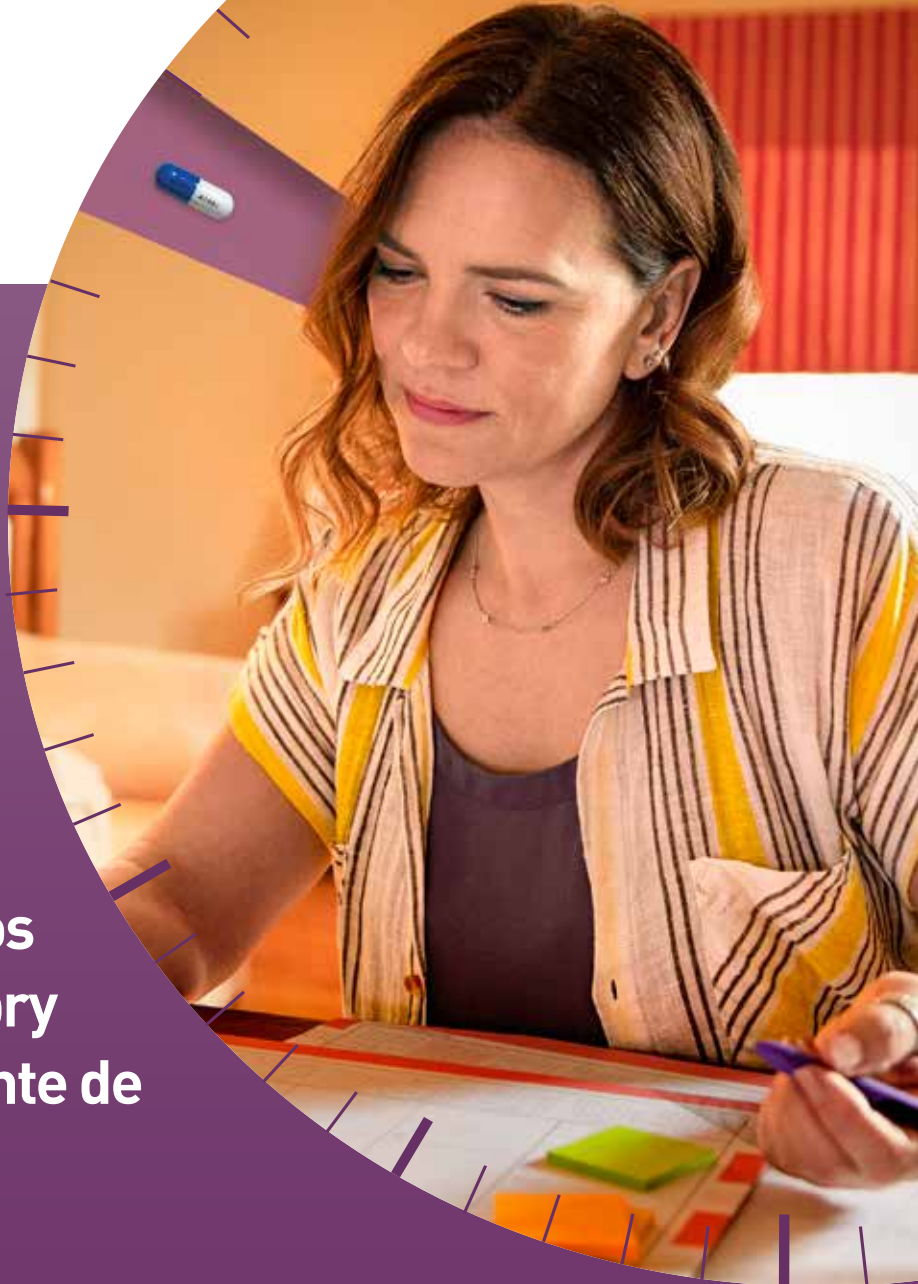
Galafold® (migalastat) es un medicamento de venta bajo receta que se usa para tratar a adultos con enfermedad de Fabry que presentan un cierto cambio genético (variante) en el gen β -galactosidasa A (*GLA*) que responde (es susceptible) a Galafold.

Se desconoce si Galafold es seguro y eficaz en niños.

Antes de tomar Galafold, informe a su proveedor de atención médica sobre todas sus afecciones médicas, incluido si:

- Tiene problemas renales.
- Está embarazada o planea quedar embarazada. Se desconoce si Galafold provocará daños en su bebé en gestación.
- Está amamantando o planea amamantar. Galafold puede pasar a la leche materna. Hable con su proveedor de atención médica acerca de la mejor manera de alimentar a su bebé si toma Galafold.

Consulte la información importante de seguridad completa en la contratapa y la Información de prescripción completa en el bolsillo.



Galafold[®] (migalastat) usa la enzima que usted ya tiene. No es un reemplazo enzimático.



Galafold es la terapia oral de todos los días para adultos con enfermedad de Fabry confirmada y una variante de *GLA* susceptible. Actúa ayudando a su alfa-Gal A a hacer su trabajo.

¿Qué significa usar la enzima que ya tiene?



sustancias grasas

Existen muchas mutaciones que puede causar la enfermedad de Fabry. Nos referimos a estas como variantes de *GLA*. Algunas personas con la enfermedad de Fabry tienen variantes que generan deficiencia y pliegues inapropiados de la alfa-Gal A. Esta enzima puede necesitar ayuda de un chaperona como Galafold para funcionar correctamente.

En la enfermedad de Fabry, las sustancias grasas, también conocidas como sustratos, se acumulan en el lisosoma de una célula (el centro de reciclaje de la célula) porque no se pueden descomponer correctamente. Esto se debe a que una mutación o cambio en el gen alfa galactosidasa (*GLA*) conduce a una alfa-galactosidasa A (alfa-gal A) defectuosa o ausente, la enzima responsable de descomponer estas sustancias.



alfa-Gal A de pliegue inapropiado



alfa-Gal A de pliegue apropiado

Información de seguridad importante (continuación)

Informe a su proveedor de atención médica acerca de todos los medicamentos que toma, incluidos los medicamentos de venta bajo receta y de venta libre, las vitaminas y los suplementos a base de hierbas.

Consulte la información importante de seguridad completa en la contratapa y la Información de prescripción completa en el bolsillo.

Conozca su variante.

Galafold solo puede funcionar con variables de *GLA* susceptibles. Hable con su proveedor de atención médica para ver si Galafold puede ser adecuado para usted.



“Me conectaron con una gran asesora genética. Me envió documentación para obtener pruebas genéticas mías y de mi hijo”.

– Rebecca, en la prueba de variantes de ella y de su hijo

“Me enteré de un posible tratamiento que estaba en desarrollo. Me dijeron que habría un ensayo que comenzaría pronto, y necesitaban hacer algunas pruebas para ver si cumplía los criterios para su estudio... Resultó que mi variante era susceptible para el tratamiento. Más tarde, ese tratamiento fue aprobado como Galafold y lo he recibido desde entonces”.

– Alex, en su prueba de variantes



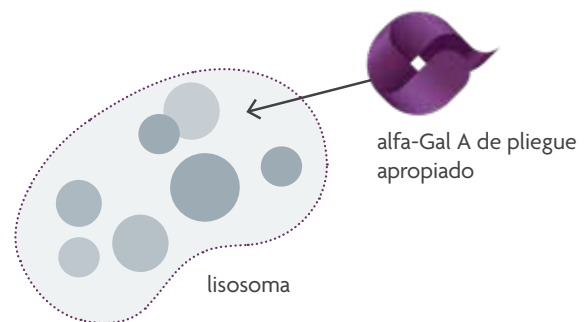
La primera y única terapia oral para la enfermedad de Fabry

“Estaba tan aliviado de tener un tratamiento que podría tomar por vía oral para Fabry”.

– Rebecca, sobre Galafold



Con el fin de descomponer las sustancias grasas, alfa-gal A necesita viajar al lisosoma. Pero generalmente solo las enzimas de pliegues apropiados entran en esta parte de la célula. Las enzimas de pliegues inapropiados, como algunas de las observadas en la enfermedad de Fabry, no pueden entrar en el lisosoma y se descomponen. Para adultos con una variante genética susceptible, Galafold® (migalastat) puede ayudar.



Incluso si usted se ha realizado una prueba en el pasado que haya determinado que tiene poca o ninguna actividad enzimática, su variante aún puede ser susceptible a Galafold. Simplemente puede significar que su enzima no puede llegar al lisosoma para hacer su trabajo.

Información de seguridad importante (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de Galafold?

Los efectos secundarios más frecuentes de Galafold incluyen dolor de cabeza, congestión o secreción nasal y dolor de garganta, infección urinaria, náuseas y fiebre.

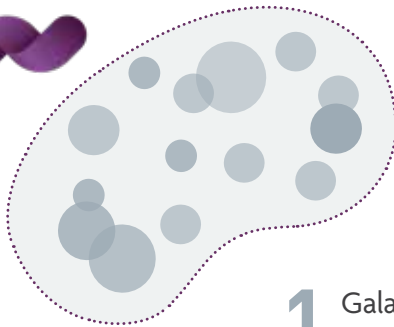
Estos no son todos los efectos secundarios posibles de Galafold. Llame a su proveedor de atención médica para que le brinde asesoramiento médico acerca de los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA llamando al 1-800-FDA-1088. También, puede informar efectos secundarios a Amicus Therapeutics al 1-877-4AMICUS.

Consulte la información importante de seguridad completa en la contratapa y la Información de prescripción completa en el bolsillo.

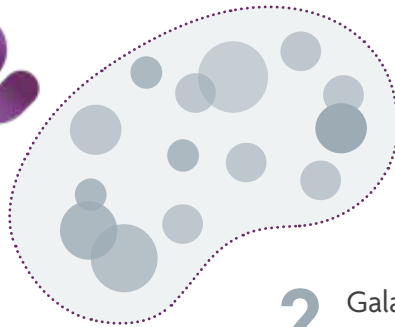
Galafold es un chaperón farmacológico.

Como chaperón, Galafold mediante la unión a alfa-gal A con pliegue incorrecto en individuos con una variante de *GLA* susceptible. Esto estabiliza la enzima para que pueda entrar en el lisosoma. Una vez que está adentro, Galafold se separa de alfa-Gal A, lo que le permite ponerse a trabajar y romper las sustancias grasas.

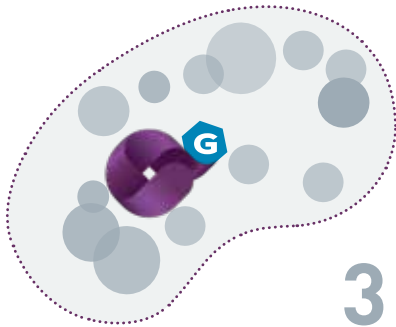
Galafold



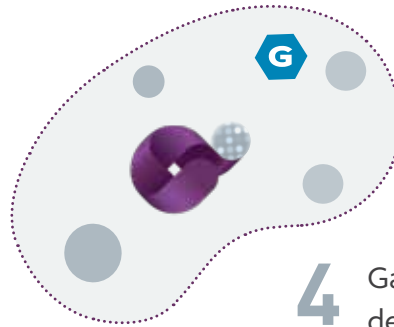
1 Galafold se une a alfa-Gal A de pliegue inapropiado



2 Galafold ayuda a estabilizar la alfa-Gal A para transportarla al lisosoma



3 Alfa-Gal A se controla con éxito en el lisosoma



4 Galafold se separa de la alfa-gal A para que la enzima pueda descomponer las sustancias grasas

Cada dos días es día de Galafold[®] (migalastat).

¿Por qué cada dos días? Para darle a su alfa-gal A tiempo suficiente para descomponer esas sustancias grasas. Para obtener ayuda en el seguimiento, busque su paquete Galafold.



“Cuando comienzo un nuevo paquete de Galafold, me gusta escribir el día de la semana por encima de la cápsula. Tengo el paquete junto a mi sillón y se me ha convertido en un hábito comprobarlo como última tarea antes de acostarme”.

– Joyce, sobre el seguimiento de Galafold

Información de seguridad importante (continuación)

¿Qué es Galafold?

Galafold es un medicamento de venta bajo receta que se usa para tratar a adultos con enfermedad de Fabry que presentan un cierto cambio genético (variante) en el gen α -galactosidasa A (GLA) que responde (es susceptible) a Galafold.

Se desconoce si Galafold es seguro y eficaz en niños.

Consulte la información importante de seguridad completa en la contratapa y la Información de prescripción completa en el bolsillo.

Cómo tomar Galafold.

Galafold se toma cada dos días a la misma hora del día e incluir Galafold en su rutina diaria puede hacer que sea más fácil de recordar.

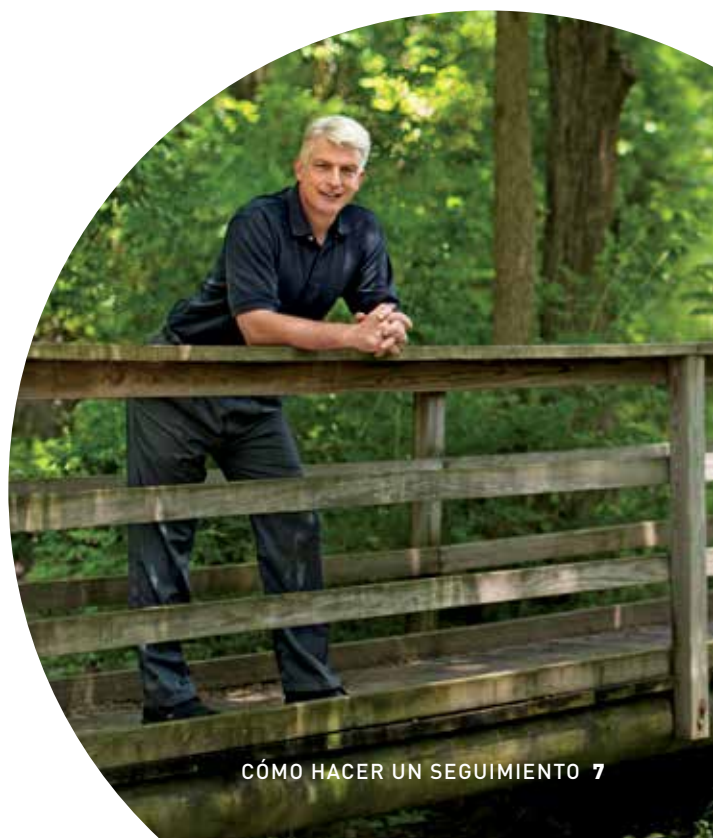
Registre la hora de la píldora para que tome Galafold a tiempo.

Cuando la vida se pone agitada, puede ser difícil recordar la hora de la píldora, especialmente si Galafold es un nuevo paso en su rutina. Es por eso que cada paquete Galafold está hecho para ayudarlo a llevar un registro.



“Aprendí a tomar Galafold para que funcionara para mí. Me gustaba que se tratara de una píldora. Me gustaba poder tomarla en casa sin tener que programar visitas médicas o citas”.

– Alex, sobre su rutina de Galafold

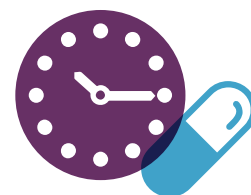


¿Cuándo tomar Galafold[®] (migalastat)? Cuando es bueno para usted.

Tomar Galafold toma aproximadamente un minuto. Cuándo sucede ese minuto depende de usted, de acuerdo con su rutina y su horario de comidas.

Elija un momento que sea conveniente.

Debido a que Galafold se debe tomar a la misma hora del día con el estómago vacío, elija la hora que funcione mejor para usted y su horario de comidas. El tiempo no importa, siempre que sea constante.



Si olvida tomar una dosis, tome la dosis omitida de Galafold si no han pasado más de 12 horas de la hora establecida en su cronograma normal. Si pasaron más de 12 horas, no compense la dosis no tomada. Debe tomar la siguiente dosis de Galafold el siguiente día programado a la hora programada de acuerdo con el cronograma de administración de dosis cada dos días.

Información de seguridad importante (continuación)

Antes de tomar Galafold, informe a su proveedor de atención médica sobre todas sus afecciones médicas, incluido si:

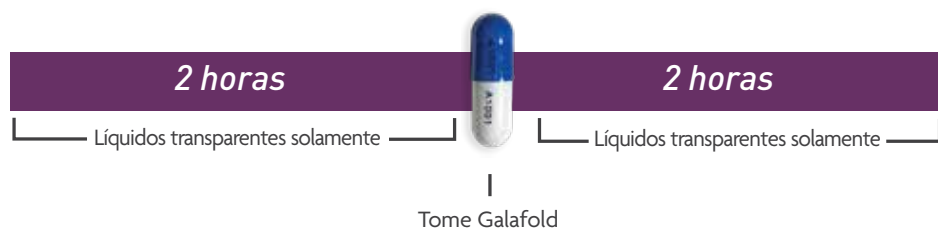
- Tiene problemas renales.
- Está embarazada o planea quedar embarazada. Se desconoce si Galafold provocará daños en su bebé en gestación.
- Está amamantando o planea amamantar. Galafold puede pasar a la leche materna. Hable con su proveedor de atención médica acerca de la mejor manera de alimentar a su bebé si toma Galafold.

Consulte la información importante de seguridad completa en la contratapa y la Información de prescripción completa en el bolsillo.

Antes de la hora de la píldora, tome líquidos transparentes.

Los alimentos y ciertos líquidos deben evitarse al menos 2 horas antes y 2 horas después de la hora de la píldora, pero eso no significa que tenga que evitar el café, refrescos o jugos. Consulte a continuación la lista de líquidos transparentes que puede tomar.

- **Agua**
corriente, carbonatada o saborizada
- **Jugos**
Jugos de frutas sin pulpa como manzana y uva
- **Refrescos**
- **Té y café**
Sin leche ni crema



“Me pareció muy sencillo ayunar una vez que empecé. Si es por mí, dejo de comer dos horas antes de irme a la cama. Ni siquiera lo pienso después de la medicación porque estoy dormida”.

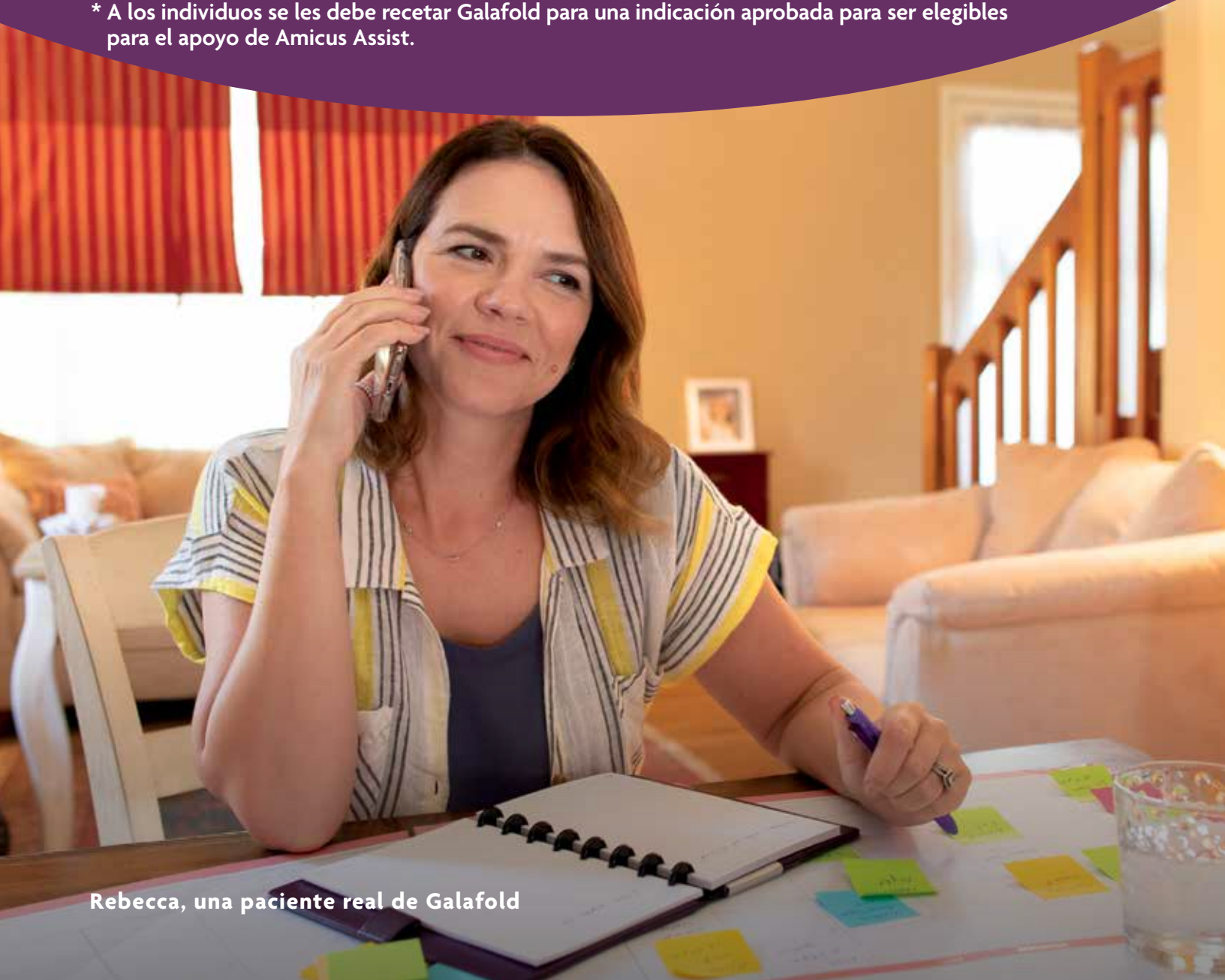
– Rebecca, sobre su rutina con Galafold



En el caso de los adultos a los que se les recetó Galafold[®] (migalastat), Amicus Assist[™] está a una llamada de distancia.

Amicus Assist es un servicio gratuito para ayudar a brindarle asistencia y respaldo del producto.*

* A los individuos se les debe recetar Galafold para una indicación aprobada para ser elegibles para el apoyo de Amicus Assist.



Rebecca, una paciente real de Galafold

Obtener el apoyo dedicado.

Una vez que su proveedor de atención médica haya recetado Galafold,* Amicus Assist le proporcionará un administrador de casos dedicado que será su punto de contacto para acceder a los servicios de soporte.



Verificar y explicar su cobertura de seguro



Colaborar con el proceso previo a la autorización



Ayudar a coordinar la entrega de recetas



Identificar posibles fuentes de asistencia financiera



Proporcionar apoyo continuo durante todo el recorrido de su tratamiento



Los gestores de casos de habla hispana están disponibles si se solicita

Comuníquese al 1-833-AMICUS-A (1-833-264-2872)

Lunes a viernes | de 8 a.m. a 8 p.m., hora del este



**PRIMERO
Y
ÚNICO**

Para adultos con enfermedad de Fabry confirmada y una variante de *GLA* susceptible

Información de seguridad importante

¿Qué es Galafold?

Galafold® (migalastat) es un medicamento de venta bajo receta que se usa para tratar a adultos con enfermedad de Fabry que presentan un cierto cambio genético (variante) en el gen α -galactosidasa A (*GLA*) que responde (es susceptible) a Galafold.

Se desconoce si Galafold es seguro y eficaz en niños.

Antes de tomar Galafold, informe a su proveedor de atención médica sobre todas sus afecciones médicas, incluido si:

- Tiene problemas renales.
- Está embarazada o planea quedar embarazada. Se desconoce si Galafold provocará daños en su bebé en gestación.
- Está amamantando o planea amamantar. Galafold puede pasar a la leche materna. Hable con su proveedor de atención médica acerca de la mejor manera de alimentar a su bebé si toma Galafold.

Informe a su proveedor de atención médica acerca de todos los medicamentos que toma, incluidos los medicamentos de venta bajo receta y de venta libre, las vitaminas y los suplementos a base de hierbas.

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de Galafold?

Los efectos secundarios más frecuentes de Galafold incluyen dolor de cabeza, congestión o secreción nasal y dolor de garganta, infección urinaria, náuseas y fiebre.

Estos no son todos los efectos secundarios posibles de Galafold. Llame a su proveedor de atención médica para que le brinde asesoramiento médico acerca de los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA llamando al 1-800-FDA-1088. También, puede informar efectos secundarios a Amicus Therapeutics al 1-877-4AMICUS.

Consulte Información de prescripción adjunta, incluida la Información para el paciente y las instrucciones de uso.

Galafold Prescribing Information. Amicus Therapeutics, Inc.; junio de 2019. | Hughes DA, Nicholls K, Shankar SP, et al. Oral pharmacological chaperone migalastat compared with enzyme replacement therapy in Fabry disease: 18-month results from the randomised phase III ATTRACT study. *J Med Genet.* 2017;54(4):288-296. | Ishii S, Chang HH, Kawasaki K, et al. Mutant alpha-galactosidase A enzymes identified in Fabry disease patients with residual enzyme activity: biochemical characterization and restoration of normal intracellular processing by 1-deoxygalactonojirimycin. *Biochem J.* 2007;406(2):285-295.

Galafold es una marca comercial registrada y Amicus Assist es una marca comercial de Amicus Therapeutics, Inc.
© 2019 Amicus Therapeutics Inc. PP-GA-US-0001-1119, noviembre de 2019

 **Amicus**
Therapeutics®