1. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti Fabri ligos gydymo būde pacientui, kuriam taikoma pakaitinė fermentų terapija (ERT), ir kuriam diagnozuota Fabri liga bei kuris turi lengvą inkstų funkcijos sutrikimą, kur būdas apima įvedimą pacientui efektyvaus kiekio migalastato arba jo druskos dažnumu vieną kartą kas antrą dieną, kur efektyvus kiekis yra nuo 100 mg iki 150 mg laisvos bazės ekvivalento (FBE).

2. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal 1 punktą, kur prieš pradedant įvedinėti migalastatą arba jo druską pacientas pasižymi proteinurijos lygiu mažesniu nei 100 mg/24 val.

3. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal 1 punktą, kur prieš pradedant įvedinėti migalastatą arba jo druską pacientas pasižymi proteinurijos lygiu nuo 100 iki 1000 mg/24 val.

4. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal 1 punktą, kur prieš pradedant įvedinėti migalastatą arba jo druską pacientas pasižymi proteinurijos lygiu didesniu nei 1000 mg/24 val.

5. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-4 punktų, kur migalastatas arba jo druska yra kietos vaisto formos pavidalu, ir (arba) kur

migalastatas arba jo druska yra įvedamas peroraliai.

6. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-5 punktų, kur:

migalastatas arba jo druska yra įvedamas bent 28 dienas; arba

migalastatas arba jo druska yra įvedamas bent 6 mėnesius; arba

migalastatas arba jo druska yra įvedamas bent 12 mėnesių.

7. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-6 punktų, kur efektyvaus kiekio migalastato arba jo druskos įvedimas pacientų grupei, turinčiai lengvą inkstų funkcijos sutrikimą, sąlygoja vidutinį metinį eGFRCKD-EPI pokyčio rodiklį didesnį nei -1,0 ml/min/1,73 m².

8. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-7 punktų, kur efektyvus kiekis yra 123 mg FBE arba 123 mg migalastato laisvos bazės, arba 150 mg migalastato hidrochlorido.

9. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-8 punktų, kur migalastatas arba jo druska yra papildomai skirtas naudoti inkstų intersticinio globotriaozilkeramido (GL-3) sumažinimui paciento organizme.

10. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 7-9 punktų, kur:

grupei pacientų, kuriems taikoma ERT, turinčių eGFR ≥ 60 ml/min/1,73 m², migalastato arba jo druskos įvedimas 18 mėnesių sąlygoja WBC-α-galaktozidazės A aktyvumo vidutinį padidėjimą maždaug 5,5 4MU/val./mg; arba

grupei pacientų, kuriems taikoma ERT, turinčių eGFR ≥ 60 ml/min/1,73 m², migalastato arba jo druskos įvedimas 18 mėnesių sąlygoja LVMi vidutinį sumažėjimą maždaug 4,8 g/m²; arba

migalastato arba jo druskos vienetinės dozės įvedimas subjektams su lengvu inkstų funkcijos sutrikimu sąlygoja vidutinio plazmos migalastato AUC0-∞ padidėjimą maždaug 1,2 karto, lyginant su sveikais kontroliniais subjektais; arba

migalastato arba jo druskos vienetinės dozės įvedimas subjektams su inkstų funkcijos sutrikimu nesukelia plazmos migalastato vidutinės Cmax reikšmės padidėjimo, lyginant su sveikais kontroliniais subjektais.

11. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-10 punktų, kur migalastato arba jo druskos įvedimas yra efektyvus padidinant α-galaktozidazės A (α-Gal A) aktyvumą paciento organizme, kur, pasirinktinai α-Gal A aktyvumas yra baltųjų kraujo ląstelių (WBC) α-Gal A aktyvumas.

12. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-11 punktų, kur migalastato arba jo druskos įvedimas yra efektyvus sumažinant kairiojo skilvelio masės indeksą paciento organizme, ir (arba) kur migalastato arba jo druskos įvedimas yra efektyvus stabilizuojant plazmos globotriaozilsfingoziną (lyso-Gbs) paciento organizme.

13. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-12 punktų, kur migalastato arba jo druskos įvedimas yra efektyvus stabilizuojant paciento inkstų funkciją.

14. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-13 punktų, kur pacientas turi α-galaktozidazės A mutaciją, kurią galima pritaikyti HEK tyrimui.

15. Migalastatas arba jo druska, skirtas naudoti pagal 14 punktą, kur HEK tyrimui pritaikoma mutacija yra mutacija, kuri demonstruoja laukinio tipo santykinį padidėjimą ≥ 1,20 karto ir absoliutų padidėjimą ≥ 3,0 %, kai mutantinė α-galaktozidazės A forma ekspresuojama HEK-293 ląstelėse, inkubuojamose dalyvaujant 10 mM migalastato, lyginant su HEK-293 ląstelėmis, inkubuojamose be migalastato.