

EMA/381704/2018
EMA/H/C/004782

Tegsedi (*inotersen*)

Общ преглед на Tegsedi и защо е разрешен за употреба в ЕС

Какво представлява Tegsedi и за какво се използва?

Tegsedi е лекарство, използвано за лечение на неврологично увреждане, причинено от наследствена транстиретинова амилоидоза (hATTR) — заболяване, при което белтъци наречени амилоиди се натрупват в тъканите в организма, включително около нервите.

Tegsedi се използва при възрастни пациенти в първите два стадия на увреждане на нервите (стадий 1, когато пациентът може да върви без помощ, и стадий 2, когато пациентът все още може да върви, но има нужда от помощ).

hATTR се счита за рядко заболяване и Tegsedi е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 26 март 2014 г. Допълнителна информация за „лекарствата сираци“ можете да намерите тук: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Как се използва Tegsedi?

Tegsedi се отпуска по лекарско предписание, а лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на пациенти с hATTR.

Лекарството се предлага под формата на разтвор за подкожно инжектиране в предварително напълнени спринцовки (284 mg). Препоръчителната доза е една инжекция веднъж седмично, приложена под кожата на корема, горната част на бедрото или горната част на ръката. Първата инжекция трябва да се постави под наблюдението на квалифициран медицински специалист, но пациентите или лицата, които полагат грижа за тях, могат да поставят следващите инжекции, след като са подходящо обучени.

Тъй като Tegsedi може да причини намаляване на броя на тромбоцитите в кръвта (води до риск от кървене), броят на тромбоцитите трябва да се проследява по време на лечението с Tegsedi, а дозата на лекарството и колко често се прилага трябва съответно да се коригират.

За повече информация относно употребата на Tegsedi вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Tegsedi?

При пациенти с hATTR протеин, наречен транстиретин, който циркулира в кръвта, е дефектен и лесно се разлага. Разложеният протеин образува амилоидни отлагания в тъканите и органите в тялото, включително около нервните, като пречи на нормалните им функции.

Активното вещество в Tegsedi, инотерсен, е „антисензивен олигонуклеотид“, много къс отрязък от синтетичен генетичен материал, предназначен да се свързва и да блокира генетичния материал на клетката, отговорна за производството на транстиретин. Това намалява производството на транстиретин, като по този начин намалява образуването на амилоиди и облекчава симптомите на hATTR амилоидоза.

Какви ползи от Tegsedi са установени в проучванията?

В едно основно проучване, обхващащо 173 пациенти с hATTR в стадий 1 или 2 на нервни увреждания, е показано, че Tegsedi е по-ефективен от плацебо (сляпо лечение) за забавяне на нервните увреждания, причинени от заболяването. Основните мерки за ефективност са промените в нервните увреждания на пациентите и качеството на живот, измерени по стандартни скали, наречени съответно „mNIS+7“ и „Norfolk QoL-DN“. След 15 месеца на лечение резултатът по скалата mNIS 7, използвана за оценка на увреждането на нервните, се влошава в по-малка степен при Tegsedi (около 11 точки), отколкото при плацебо (около 25 точки). Качеството на живот, измерено по скалата Norfolk QoL-DN, се влошава с около 4 точки при пациентите, лекувани с Tegsedi, в сравнение с около 13 точки при пациентите на плацебо.

Какви са рисковете, свързани с Tegsedi?

Най-честите нежелани реакции при Tegsedi (които може да засегнат повече от 1 на 10 пациенти) са реакции на мястото на инжектиране, гадене (повдигане), намаляване на червените кръвни клетки, главоболие, повишена температура, периферен оток (подуване, особено на глезените и стъпалата), втрисане, повръщане и намаляване на броя на тромбоцитите, което може да доведе до кървене и кръвонасядания. За пълния списък на всички нежелани реакции, съобщени при Tegsedi, вижте листовката.

Tegsedi не трябва да се прилага при пациенти с нисък брой на тромбоцитите (по-малко от $100 \times 10^9/l$) и при пациенти с тежки бъбречни или чернодробни проблеми. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Tegsedi е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Tegsedi е ефективен за лечение на нервно увреждане в стадий 1 или стадий 2 при пациенти с hATTR. Наличните данни не са достатъчни, за да се постигне благоприятен ефект при пациенти в стадий 3 (пациенти в инвалидна количка). С оглед на неудовлетворената медицинска нужда се счита, че профилът на безопасност на Tegsedi е приемлив, а рисковете се управляват чрез специфични правила за проследяване, намаляване на дозата и спиране на лекарството.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Tegsedi са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Tegsedi?

Фирмата, която предлага Tegsedi, ще предостави сигнална карта за пациентите с информация за безопасността на лекарството и как да предотвратяват нежеланите реакции.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Tegsedi, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Tegsedi непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Tegsedi, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Tegsedi:

Допълнителна информация за Tegsedi можете да намерите на уебсайта на

Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.