

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

Tegsedi (*inotersenum*)

Přehled pro přípravek Tegsedi a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Tegsedi a k čemu se používá?

Tegsedi je léčivý přípravek, který se používá k léčbě poškození nervů v důsledku hereditární transthyretinové amyloidózy, což je onemocnění, při němž se v tkáních v těle, a to i v okolí nervů, hromadí bílkoviny zvané amyloidy.

Přípravek Tegsedi se používá u dospělých pacientů v prvních dvou stádiích poškození nervů (stadium 1, kdy je pacient schopen bez pomoci chodit, a stadium 2, kdy pacient stále ještě dokáže chodit, ale s pomocí).

Hereditární transthyretinová amyloidóza je vzácné onemocnění a přípravek Tegsedi byl stanoven dne 26. března 2014 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Jak se přípravek Tegsedi používá?

Výdej přípravku Tegsedi je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou.

Přípravek je dostupný ve formě injekčního roztoku v předplněné injekční stříkačce (284 mg) k podání pod kůži. Doporučená dávka je jedna injekce jednou týdně, aplikovaná pod kůži do břicha, horní části stehna nebo horní části paže. První injekce by měla být podána pod dohledem kvalifikovaného zdravotnického pracovníka, další injekce již mohou po patřičném zaškolení aplikovat pacienti nebo ošetřující osoby.

Protože přípravek Tegsedi může způsobit snížení počtu krevních destiček (čímž vzniká riziko krvácení), je nutné během léčby přípravkem Tegsedi počet krevních destiček sledovat a na základě toho upravovat dávkování přípravku a frekvenci jeho podávání.

Více informací o používání přípravku Tegsedi naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Tegsedi působí?

U pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou je bílkovina zvaná transthyretin defektní (nestabilní) a snadno se štěpí. Fragmenty bílkoviny vytvářejí depozity amyloidu v tkáních a orgánech v různých částech těla, a to i v okolí nervů, kde ovlivňují jejich normální funkce.

Léčivá látka v přípravku Tegsedi, inotersen, je tzv. antisense oligonukleotid, který je tvořen velmi krátkým řetězcem uměle vytvořeného genetického materiálu, který byl vytvořen tak, aby se navázal na genetický materiál buněk odpovědných za produkci transthyretinu a blokoval jej. Tím, že se sníží produkce transthyretinu, se sníží i tvorba amyloidů a dojde ke zmírnění příznaků hereditární transthyretinové amyloidózy.

Jaké přínosy přípravku Tegsedi byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Tegsedi byl zkoumán v jedné hlavní studii zahrnující 173 pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou ve stadiích poškození nervů 1 nebo 2. Při porovnání s placebem (neúčinným přípravkem) se přípravek Tegsedi ukázal být při zpomalování poškození nervů v důsledku onemocnění účinnější. Hlavním měřítkem účinnosti léčby byly změny v poškození nervů u pacientů a v kvalitě jejich života, měřeno prostřednictvím standardního skóre zvaného mNIS+7 a v norfolkském dotazníku QoL-DN. Po patnáctiměsíční léčbě se skóre mNIS+7, používané k posuzování poškození nervů, zhoršilo při užívání přípravku Tegsedi méně (přibližně o 11 bodů) než při užívání placeba (zhruba o 25 bodů). Kvalita života posuzovaná prostřednictvím norfolkského dotazníku QoL-DN se u pacientů léčených přípravkem Tegsedi zhoršila přibližně o 4 body, zatímco ve skupině užívající placebo zhruba o 13 bodů.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Tegsedi?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Tegsedi (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou reakce v místě vpichu injekce, nauzea (pocit na zvracení), nízká hladina červených krvinek, bolesti hlavy, horečka, periferní edém (otok, zejména v oblasti kotníků a chodidel), zimnice, zvracení a nízký počet krevních destiček, což může vést ke krvácení a podlitinám. Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Tegsedi je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Tegsedi nesmějí užívat pacienti s nízkým počtem krevních destiček (méně než $100 \times 10^9/l$) a pacienti s těžkými poruchami funkce ledvin nebo jater. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Tegsedi registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Tegsedi je účinný u pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou při léčbě poškození nervů stadia 1 nebo 2. Dostupné údaje nejsou dostatečné pro to, aby bylo možno předpokládat přínos i u pacientů ve stadiu 3 (pacientů upoutaných na invalidní vozík). Na základě neuspokojené léčebné potřeby byl bezpečnostní profil přípravku Tegsedi považován za přijatelný a jeho rizika za zvládnutelná, pokud se dodržuje stanovené sledování, snížení dávek a pravidla pro ukončení léčby.

Evropská agentura pro léčivé přípravky tudíž rozhodla, že přínosy přípravku Tegsedi převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Tegsedi?

Společnost, která přípravek Tegsedi dodává na trh, poskytne všem pacientům informační kartičku o bezpečném užívání přípravku a o tom, jak řešit nežádoucí účinky.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Tegsedi, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Tegsedi průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Tegsedi jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Tegsedi

Další informace k přípravku Tegsedi jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).