



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/258552/2025
EMA/H/C/006477

Tryngolza (*olezarsen*)

Přehled pro přípravek Tryngolza a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Tryngolza a k čemu se používá?

Tryngolza je léčivý přípravek, který se používá v kombinaci s dietou k léčbě dospělých se syndromem familiární chylomikronemie, což je genetické onemocnění, které způsobuje vysoké hladiny tuků zvaných triglyceridy v krvi. Přebytný tuk se hromadí v různých částech těla a vede k příznakům, jako jsou bolesti břicha, hromadění tuku pod kůží a pankreatitida (zánět slinivky břišní). Přípravek Tryngolza se používá k léčbě syndromu familiární chylomikronemie, který byl potvrzen genetickými testy.

Syndrom familiární chylomikronemie je vzácné onemocnění a přípravek Tryngolza byl označen dne 21. srpna 2024 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Tryngolza obsahuje léčivou látku olezarsen.

Jak se přípravek Tryngolza používá?

Výdej přípravku Tryngolza je vázán na lékařský předpis a je dostupný ve formě injekčního roztoku v předplněných perech. Podává se injekčně pod kůži jednou měsíčně do břicha, přední strany stehna nebo zadní strany horní části paže. Po zaškolení si mohou injekce přípravku Tryngolza aplikovat sami pacienti nebo jim je mohou podávat osoby, které je ošetřují.

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

Jak přípravek Tryngolza působí?

Léčivá látka v přípravku Tryngolza, olezarsen, je „protisměrný oligonukleotid“, velmi krátká část syntetické (uměle vytvořené) RNA (typu genetického materiálu). Byl navržen tak, aby blokoval tvorbu proteinu (bílkoviny) zvaného apolipoprotein C-III (apoC-III), který zpomaluje štěpení tuků. Blokováním tvorby tohoto proteinu léčivý přípravek snižuje hladinu triglyceridů v krvi a v důsledku toho i hromadění tuku v těle.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Jaké přínosy přípravku Tryngolza byly prokázány v průběhu studií?

V jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 66 dospělých se syndromem familiární chylomikronemie, bylo prokázáno, že přípravek Tryngolza je účinný při snižování hladin triglyceridů v krvi. Všichni pacienti zařazení do studie kromě užívání přípravku Tryngolza nebo placebo (neúčinného přípravku) dodržovali také kontrolovanou dietu.

Po 6 měsících léčby došlo u pacientů užívajících přípravek Tryngolza ke snížení hladiny triglyceridů v krvi v průměru o 32 % ve srovnání s průměrným zvýšením o 12 % u pacientů užívajících placebo. Po jednom roce léčby tento účinek stále přetrvával a ještě se zlepšil. Studie rovněž prokázala, že u pacientů užívajících přípravek Tryngolza bylo v porovnání s pacienty užívajícími placebo zaznamenáno mnohem méně případů akutní pankreatitidy.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Tryngolza?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Tryngolza je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Tryngolza (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou erytém (zarudnutí kůže) v místě injekce, bolest hlavy, bolest kloubů a zvracení.

Na základě čeho byl přípravek Tryngolza registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Tryngolza snižuje hladiny triglyceridů v krvi a snižuje riziko akutní pankreatitidy u pacientů se syndromem familiární chylomikronemie. Bezpečnost tohoto léčivého přípravku byla považována za přijatelnou, zejména skutečnost, že přípravek Tryngolza podle všeho nemá vliv na hladiny krevních destiček (složek, které napomáhají srážení krve) v krvi. Jeho měsíční dávkovací schéma a vyšší úroveň bezpečnosti byly rovněž považovány za přínosné pro pacienty se syndromem familiární chylomikronemie. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Tryngolza převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

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

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

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Tryngolza průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Tryngolza jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Tryngolza

Další informace o přípravku Tryngolza jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/tryngolza.