

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

Tegsedi (*inotersen*)

En oversigt over Tegsedi, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Tegsedi, og hvad anvendes det til?

Tegsedi er et lægemiddel til behandling for beskadigelse af nerverne som følge af den arvelige sygdom transthyretin amyloidose (hATTR), hvor et protein kaldet amyloid ophobes i vævene rundt om i kroppen, herunder rundt om nerverne.

Tegsedi anvendes hos voksne patienter, der har nervebeskadigelse af grad 1 (patienten kan gå uden hjælp) og grad 2 (patienten kan stadig gå, men har brug for hjælp).

Sygdommen hATTR er sjælden, og Tegsedi blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 26. marts 2014. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes her: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Hvordan anvendes Tegsedi?

Tegsedi udleveres kun efter recept, og behandlingen bør påbegyndes og overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med hATTR.

Lægemidlet fås som en injektionsvæske, opløsning, i en fyldt sprøjte (284 mg), til indgivelse under huden. Den anbefalede dosis er én injektion én gang om ugen givet under huden på maven, låret eller overarmen. Den første injektion bør gives under overvågning af en kvalificeret sundhedsperson, og patienterne selv eller deres omsorgspersoner kan give de efterfølgende injektioner efter tilstrækkelig oplæring.

Da Tegsedi kan medføre et fald i antallet af blodplader (hvilket udgør en risiko for blødning), skal blodpladetallet tjekkes under behandlingen med Tegsedi, og dosen af lægemidlet og hyppigheden, hvormed det gives, tilpasses i overensstemmelse hermed.

For mere information om brug af Tegsedi, se indlægssedlen eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Tegsedi?

Hos patienter med hATTR er proteinet transthyretin, der cirkulerer rundt i blodet, mangelfuldt og nedbrydes hurtigt. Det ødelagte protein danner amyloid, som deponeres i væv og organer rundt om i kroppen, herunder også rundt om nerverne, hvor det forstyrrer deres normale funktion.

Det aktive stof i Tegsedi, inotersen, er et "antisense-oligonukleotid", som er et meget kort stykke genetisk materiale, der er designet til at binde til og blokere det genetiske materiale for den celle, der danner transthyretin. Dermed reduceres dannelsen af transthyretin, hvilket reducerer dannelsen af amyloider og lindrer symptomerne på HATTR-amyloidose.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Tegsedi?

I et hovedstudie med deltagelse af 173 hATTR-patienter med grad 1- eller grad 2-nervebeskadigelse blev det påvist, at Tegsedi er mere effektivt end placebo (et ikke-aktivt stof) til at forsinke den nervebeskadigelse, som sygdommen medfører. De primære mål for virkning var ændringerne i patienternes nervebeskadigelse og livskvalitet som bedømt ved anvendelse af standardskalaerne "mNIS+7" og "Norfolk QoL-DN". Efter 15 måneders behandling var forværringen af scoren på mNIS+7-skalaen, der anvendes til at bedømme nervebeskadigelse, mindre med Tegsedi (ca. 11 point) end med placebo (ca. 25 point). Livskvaliteten målt ved hjælp af scoren på Norfolk QoL-DN-skalaen var forværret med ca. 4 point hos patienter, der fik Tegsedi, sammenholdt med en forværring på ca. 13 point hos dem, der fik placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Tegsedi?

De hyppigste bivirkninger ved Tegsedi (som kan forekomme hos flere end 1 ud af 10 patienter) er reaktioner på injektionsstedet, kvalme, lavt antal røde blodlegemer, hovedpine, feber, perifert ødem (hævelse, især af anklerne og fødderne), kulderystelser, opkastning og lavt antal blodplader, som kan medføre blødning og blå mærker. Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Tegsedi fremgår af indlægssedlen.

Tegsedi må ikke anvendes af patienter med lavt antal blodplader (mindre end $100 \times 10^9/l$) og af patienter med alvorlige nyre- eller leverproblemer. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Tegsedi godkendt i EU?

Det er påvist, at Tegsedi er effektivt til behandling af nervebeskadigelse af grad 1 eller grad 2 hos patienter med hATTR. De tilgængelige data var ikke tilstrækkelige til at fastslå en gavnlig virkning hos patienter med grad 3-nervebeskadigelse (dem, som er nødt til at bruge kørestol). I betragtning af det ikke-dækkede medicinske behov blev Tegsedis sikkerhedsprofil fundet acceptabel, og det vurderedes, at risiciene var håndterbare med specifikke regler for overvågning, dosisreduktion og ophør.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Tegsedi opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Tegsedi?

Den virksomhed, der markedsfører Tegsedi, skal udarbejde et patientkort med oplysninger om sikkerheden ved lægemidlet og håndtering af bivirkninger.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Tegsedi.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Tegsedi løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Tegsedi vurderes omhyggeligt, og der tages de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Tegsedi

Yderligere information vedrørende Tegsedi findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).