



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tegsedi (ινοτερσένη)

Ανασκόπηση του Tegsedi και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Tegsedi και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Tegsedi είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για την αποκατάσταση της νευρικής βλάβης που οφείλεται στην κληρονομική αμυλοείδωση από τρανσθυρετίνη, μια νόσο στην οποία πρωτεΐνες που ονομάζονται αμυλοειδή συσσωρεύονται σε ιστούς του σώματος, καθώς και γύρω από τα νεύρα.

Το Tegsedi χορηγείται σε ενήλικες ασθενείς με νευρική βλάβη στα δύο πρώτα στάδια (στάδιο 1, όταν ο ασθενής μπορεί να βαδίζει χωρίς κάποιο βοήθημα και στάδιο 2 όταν ο ασθενής έχει ακόμα την ικανότητα βάδισης, αλλά χρειάζεται βοήθεια).

Η κληρονομική αμυλοείδωση από τρανσθυρετίνη είναι «σπάνια» νόσος και το Tegsedi έχει χαρακτηριστεί «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 26 Μαρτίου 2014. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Πώς χρησιμοποιείται το Tegsedi;

Το Tegsedi χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιούνται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία ασθενών με κληρονομική αμυλοείδωση από τρανσθυρετίνη.

Το φάρμακο διατίθεται υπό μορφή ενέσιμου διαλύματος για υποδόρια χορήγηση, σε προγεμισμένες σύριγγες (284 mg). Η συνιστώμενη δόση είναι μία ένεση μία φορά την εβδομάδα, χορηγούμενη υποδόρια στην κοιλιακή χώρα, στο άνω τμήμα του μηρού ή στο άνω τμήμα του βραχίονα. Η πρώτη ένεση πρέπει να χορηγείται υπό την επίβλεψη εξειδικευμένου επαγγελματία υγείας, ενώ οι επόμενες ενέσεις μπορούν να γίνονται από τους ασθενείς ή τα άτομα που τους φροντίζουν, μετά από κατάλληλη εκπαίδευση.

Επειδή το Tegsedi μπορεί να προκαλέσει μείωση του αριθμού των αιμοπεταλίων (με κίνδυνο αιμορραγίας), ο αριθμός των αιμοπεταλίων πρέπει να παρακολουθείται κατά τη διάρκεια της θεραπείας με Tegsedi, η δε δόση του φαρμάκου και η συχνότητα χορήγησης να προσαρμόζονται ανάλογα.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Tegsedi, δείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.



Πώς δρα το Tegsedi;

Στους ασθενείς με κληρονομική αμυλοειδωση από τρανσθυρετίνη (hATTR), η πρωτεΐνη τρανσθυρετίνη που κυκλοφορεί στο αίμα τους είναι ελαττωματική και διασπάται εύκολα. Η διασπασμένη πρωτεΐνη σχηματίζει αμυλοειδείς εναποθέσεις στους ιστούς και στα όργανα του σώματος, μεταξύ άλλων και γύρω από τα νεύρα, επηρεάζοντας τις φυσιολογικές λειτουργίες τους.

Η δραστική ουσία του Tegsedi, η ινοτερσένη, είναι αντινοσηματικό ολιγονουκλεοτίδιο, ένα πολύ μικρό κομμάτι συνθετικού γενετικού υλικού που έχει σχεδιαστεί για να προσκολλάται και να αναστέλλει το γενετικό υλικό των κυττάρων που είναι υπεύθυνα για την παραγωγή τρανσθυρετίνης. Κατ' αυτόν τον τρόπο μειώνεται η παραγωγή της τρανσθυρετίνης και, κατά συνέπεια, ο σχηματισμός αμυλοειδών, με αποτέλεσμα την ανακούφιση από τα συμπτώματα της κληρονομικής αμυλοειδωσης από τρανσθυρετίνη.

Ποια είναι τα οφέλη του Tegsedi σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μία βασική μελέτη στην οποία μετείχαν 173 ασθενείς με κληρονομική αμυλοειδωση από τρανσθυρετίνη με νευρική βλάβη σταδίου 1 ή 2, το Tegsedi αποδείχθηκε πιο αποτελεσματικό από το εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) στην επιβράδυνση της νευρικής βλάβης που προκαλείται από τη νόσο. Ο κύριος δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν οι αλλαγές στη νευρική βλάβη των ασθενών και στην ποιότητα ζωής, όπως μετρήθηκαν με τη χρήση τυποποιημένης κλίμακας 'mNIS+7' και 'Norfolk QoL-DN' αντίστοιχα. Μετά από 15 μήνες θεραπείας, η βαθμολογία στην κλίμακα mNIS+7 για την αξιολόγηση της νευρικής βλάβης παρουσίασε μικρότερη επιδείνωση στους ασθενείς που έλαβαν Tegsedi (περίπου 11 μονάδες) σε σύγκριση με τους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο (περίπου 25 μονάδες). Η ποιότητα ζωής, όπως μετρήθηκε με την κλίμακα Norfolk QoL-DN, παρουσίασε επιδείνωση κατά 4 περίπου μονάδες σε ασθενείς που έλαβαν Tegsedi, σε σύγκριση με περίπου 13 μονάδες σε ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Tegsedi;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Tegsedi (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι αντιδράσεις στο σημείο της ένεσης, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), χαμηλά επίπεδα ερυθροκυττάρων, κεφαλαλγία, πυρετός, περιφερικό οίδημα (πρήξιμο, ιδίως στους αστραγάλους και στα πόδια), ρίγη, έμετος και χαμηλός αριθμός αιμοπεταλίων που μπορεί να προκαλέσει αιμορραγία και μώλωπες. Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Tegsedi, δείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Tegsedi δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς με χαμηλό αριθμό αιμοπεταλίων (κάτω από $100 \times 10^9/l$), καθώς και σε ασθενείς με σοβαρά νεφρικά ή ηπατικά προβλήματα. Για τον πλήρη κατάλογο των περιορισμών, δείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Tegsedi στην ΕΕ;

Το Tegsedi αποδείχθηκε αποτελεσματικό στη θεραπεία της νευρικής βλάβης σταδίου 1 ή 2 σε ασθενείς με κληρονομική αμυλοειδωση από τρανσθυρετίνη. Τα διαθέσιμα δεδομένα δεν ήταν επαρκή για την παραδοχή ευεργετικής επίδρασης σε ασθενείς με νευρική βλάβη σταδίου 3 (ασθενείς που έχουν καθηλωθεί σε αναπηρική καρέκλα). Δεδομένου ότι δεν υπάρχει τρόπος αντιμετώπισης της συγκεκριμένης ιατρικής ανάγκης, η εικόνα ασφάλειας του Tegsedi κρίθηκε αποδεκτή και οι κίνδυνοι διαχειρίσιμοι, με βάση συγκεκριμένους κανόνες παρακολούθησης, μείωσης της δόσης και διακοπής της θεραπείας.

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αποφάσισε ότι τα οφέλη του Tegsedi υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Tegsedi;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Tegsedi θα παράσχει κάρτα προειδοποίησης για τους ασθενείς με πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια του φαρμάκου και τον τρόπο διαχείρισης των ανεπιθύμητων ενεργειών.

Οι συστάσεις τις οποίες θα πρέπει να ακολουθήσουν και οι προφυλάξεις τις οποίες θα πρέπει να λάβουν οι επαγγελματίες υγείας και οι ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Tegsedi έχουν επίσης συμπεριληφθεί στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του φαρμάκου.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Tegsedi παρακολουθούνται συνεχώς. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που επισημαίνονται με το Tegsedi αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Tegsedi

Περισσότερες πληροφορίες για το Tegsedi διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European/public/assessment/reports.