



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/404200/2016  
EMA/H/C/002294

## Резюме на EPAR за обществено ползване

---

# Vyndaqel

tafamidis

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Vyndaqel. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Vyndaqel.

## Какво представлява Vyndaqel?

Vyndaqel е лекарство, съдържащо активното вещество тафамидис (*tafamidis*). Предлага се под формата на капсули (20 mg).

## За какво се използва Vyndaqel?

Vyndaqel се използва за отлагане на неврологично увреждане, причинено от транстиретинова амилоидоза — наследствено заболяване, при което в тъканите на организма, включително около нервите, се натрупват нишки, наречени амилоиди. Vyndaqel се използва при възрастни пациенти в ранен стадий на неврологичното заболяване (стадий 1).

Тъй като броят на пациентите с транстиретинова амилоидоза е малък, болестта се счита за „рядка“ и Vyndaqel е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 28 август 2006 г.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

## Как се използва Vyndaqel?

Лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на пациенти с това заболяване. Препоръчителната доза е една капсула веднъж дневно.



## Как действа Vyndaqel?

При пациенти с транстиретинова амилоидоза плазменият протеин, наречен транстиретин, е дефектен и се разпада лесно. Разпадналият се протеин образува фиброзно вещество, наречено амилоид, което се натрупва в тъканите и органите на организма, включително около нервите, където потиска нормалните им функции.

Активното вещество във Vyndaqel, тафамидис, е стабилизатор на транстиретина. То се свързва с транстиретина, което предотвратява разпадането му и в резултат спира образуването на амилоидите и забавя развитието на неврологичното заболяване.

## Как е проучен Vyndaqel?

Vyndaqel е сравнен с плацебо (сляпо лечение) при 128 пациенти с транстиретинова амилоидоза. Основната мярка за ефективност се основава на оценката на пациентите за неврологичното увреждане и качеството на живот 18 месеца след лечението.

## Какви ползи от Vyndaqel са установени в проучванията?

Vyndaqel е по-ефективен от плацебо за лечение на пациенти с транстиретинова амилоидоза. При 45% от пациентите, приемащи Vyndaqel, неврологичната функция се подобрява или стабилизира в сравнение с 30% от пациентите, приемащи плацебо. Резултатите не включват пациенти с по-сериозно заболяване, които са изключени от проучването на ранен етап, тъй като е било необходимо да бъдат подложени на чернодробна трансплантация.

## Какви са рисковете, свързани с Vyndaqel?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Vyndaqel (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са инфекция на пикочните пътища (инфекция на пътищата, пренасящи урината), вагинална инфекция, абдоминална (коремна) болка и диария. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения, съобщени при Vyndaqel, вижте листовката.

## Защо Vyndaqel е разрешен за употреба?

CHMP отбеляза, че освен при пациентите, изключени от проучването, тъй като е било необходимо да бъдат подложени на чернодробна трансплантация, Vyndaqel е по-ефективен от плацебо за отлагане на неврологично увреждане при пациенти с транстиретинова амилоидоза. Лекарството не поражда сериозни опасения относно безопасността и се счита, че рисковете могат да се контролират. CHMP реши, че ползите от Vyndaqel са по-големи от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

Vyndaqel е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Това означава, че по научни съображения не е било възможно да се получи пълна информация за Vyndaqel. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и това резюме съответно ще се актуализира.

## Каква информация се очаква за Vyndaqel?

Фирмата производител на Vyndaqel ще проведе проучване за ефектите от лекарството при подгрупа пациенти с определен вид генетични мутации. Фирмата ще предостави също данни за дългосрочната безопасност след разрешаване.

## **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Vyndaqel?**

Фирмата, която предлага Vyndaqel, ще предостави обучителни материали за всички лекари, които се очаква да предписват Vyndaqel. Материалите ще включват брошура, съдържаща информация относно рисковете, свързани с употребата на лекарството, включително рисковете за нероденото дете и как да се съдейства за проучване след разрешаването и програма за надзор за бременни жени.

В кратката характеристика на продукта и в листовката са включени препоръки и предпазни мерки, които здравните специалисти и пациентите трябва да спазват за безопасната и ефективна употреба на Vyndaqel.

### **Допълнителна информация за Vyndaqel:**

На 16 ноември 2011 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Vyndaqel, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Vyndaqel може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). За повече информация относно лечението с Vyndaqel прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Vyndaqel може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

Дата на последно актуализиране на текста 06-2016.