



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

# Vyndaqel

tafamidisum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Vyndaqel. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek používání přípravku Vyndaqel.

## Co je Vyndaqel?

Vyndaqel je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku tafamidis. Je dostupný ve formě tobolek (20 mg).

## K čemu se přípravek Vyndaqel používá?

Přípravek Vyndaqel se používá k oddálení poškození nervů v důsledku amyloidózy z depozice transthyretinu, což je dědičné onemocnění, při němž se v tkáních v těle, a to i v okolí nervů, hromadí vlákna nazývaná amyloidy. Přípravek Vyndaqel se používá u dospělých pacientů v raném stadiu nervového onemocnění (1. stupeň).

Jelikož počet pacientů s amyloidózou z depozice transthyretinu je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Vyndaqel byl dne 28. srpna 2006 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

## Jak se přípravek Vyndaqel používá?

Léčba by měla být zahájena a sledována lékařem, který má znalosti o léčbě pacientů s tímto onemocněním. Doporučená dávka je jedna tobolka jednou denně.



## **Jak přípravek Vyndaqel působí?**

U pacientů s amyloidózou z depozice transthyretinu je krevní protein (bílkovina) nazývaný transthyretin vadný a snadno se rozpadá. Rozpadlý protein vytváří fibrózní látku nazývanou amyloid, která se usazuje ve tkáních a orgánech v různých částech těla, a to i v okolí nervů, kde ovlivňuje jejich normální funkce.

Léčivá látka v přípravku Vyndaqel, tafamidis, je stabilizátorem transthyretinu. Naváže se na transthyretin, což zabraňuje jeho štěpení. V důsledku toho se přestává tvořit amyloid a dochází ke zpomalení progresu (zhoršování) nervového onemocnění.

## **Jak byl přípravek Vyndaqel zkoumán?**

Přípravek Vyndaqel byl porovnáván s placebem (neúčinným přípravkem) u 128 pacientů s amyloidózou z depozice transthyretinu. Hlavní měřítko účinnosti bylo založeno na vyhodnocení poškození nervů a kvality života pacientů po 18 měsících léčby.

## **Jaký přínos přípravku Vyndaqel byl prokázán v průběhu studií?**

Přípravek Vyndaqel byl v rámci léčby pacientů s amyloidózou z depozice transthyretinu účinnější než placebo. Nervové funkce se zlepšily nebo stabilizovaly u 45 % pacientů užívajících přípravek Vyndaqel ve srovnání s 30 % pacientů užívajících placebo. Výsledky nezahrnovaly pacienty se závažnější formou onemocnění, kteří studii opustili předčasně z důvodu nutnosti podstoupit transplantaci jater.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Vyndaqel?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Vyndaqel (zaznamenanými u více než 1 pacienta z 10) jsou infekce močových cest, vaginální infekce, bolest v horní části břicha (bolest žaludku) a průjem. Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Vyndaqel je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Vyndaqel schválen?**

Výbor CHMP konstatoval, že přípravek Vyndaqel byl v rámci oddálení poškození nervů u pacientů s amyloidózou z depozice transthyretinu (s výjimkou pacientů, kteří studii opustili z důvodu nutnosti podstoupit transplantaci jater) účinnější než placebo. Tento přípravek nevyvolal žádné zásadní obavy týkající se bezpečnosti a jeho rizika byla považována za zvládnutelná. Výbor CHMP proto dospěl k závěru, že přínosy přípravku Vyndaqel převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Přípravek Vyndaqel byl registrován za „výjimečných okolností“. Znamená to, že vzhledem ke vzácné povaze amyloidózy z depozice transthyretinu nebylo z vědeckých důvodů možné o přípravku Vyndaqel získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

## **Jaké informace o přípravku Vyndaqel nebyly dosud předloženy?**

Výrobce přípravku Vyndaqel provede studii účinků přípravku u podskupiny pacientů s určitými genetickými mutacemi. Výrobce také předloží dlouhodobé údaje o bezpečnosti přípravku z období po jeho uvedení na trh.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Vyndaqel?**

Společnost, která přípravek Vyndaqel dodává na trh, poskytne všem lékařům, u kterých se očekává, že tento přípravek budou předepisovat, vzdělávací materiály. Tyto materiály budou zahrnovat leták s informacemi o rizicích přípravku, včetně rizik pro nenarozené děti, a o tom, jak se zapojit do studie po uvedení přípravku na trh a do programu pro sledování těhotných žen.

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

### **Další informace o přípravku Vyndaqel**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Vyndaqel platné v celé Evropské unii dne 16. listopadu 2011.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Vyndaqel je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Další informace o léčbě přípravkem Vyndaqel naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Vyndaqel vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 06-2016.