



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR – Sammendrag til offentligheden

Vyndaqel

tafamidis

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Vyndaqel. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om, hvordan Vyndaqel skal anvendes.

Hvad er Vyndaqel?

Vyndaqel er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof tafamidis. Det fås som kapsler (20 mg).

Hvad anvendes Vyndaqel til?

Vyndaqel anvendes til at udskyde beskadigelsen af nerverne som følge af transthyretin amyloidose, en arvelig sygdom, hvorunder der opbygges fibre kaldet amyloid i vævene rundt om i kroppen, herunder også rundt om nerverne. Vyndaqel anvendes til voksne patienter med nervesygdommen i et tidligt stadium (stadie 1).

Da antallet af patienter med transthyretin amyloidose er lavt, anses sygdommen for at være "sjælden", og Vyndaqel blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 28. august 2006.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes Vyndaqel?

Behandlingen bør indledes og overvåges af en læge med kendskab til behandling af patienter med denne sygdom. Den anbefalede dosis er én kapsel én gang dagligt.

Hvordan virker Vyndaqel?

Hos patienter med transthyretin amyloidose fungerer et blodprotein kaldet transthyretin ikke rigtigt og bliver let ødelagt. Det ødelagte protein danner et fibrøst stof kaldet amyloid, som deponeres i væv og

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



organer rundt om i kroppen, herunder også rundt om nerverne, hvor det forstyrrer deres normale funktion.

Det aktive stof i Vyndaqel, tafamidis, er en transthyretin-stabilisator. Det binder sig til transthyretin, hvilket forhindrer, at proteinet går i stykker, hvorved det bringer dannelsen af amyloid til ophør og forhæler nervesygdommens progression.

Hvordan blev Vyndaqel undersøgt?

Vyndaqel blev sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling) hos 128 patienter med transthyretin amyloidose. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på patienternes nervebeskadigelse og livskvalitet efter 18 måneders behandling.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Vyndaqel?

Vyndaqel var mere effektivt end placebo til behandling af patienter med transthyretin amyloidose. Hos 45 % af de patienter, der fik Vyndaqel, enten forbedredes eller stabiliseredes nervefunktionen sammenlignet med 30 % hos de patienter, der fik placebo. I disse resultater indgår ikke patienter med sværere sygdom, der forlod undersøgelsen tidligt, fordi de var nødt til at gennemgå en levertransplantation.

Hvilken risiko er der forbundet med Vyndaqel?

De hyppigste bivirkninger ved Vyndaqel (som optræder hos mere end 1 ud af 10 patienter) er urinvejsinfektioner, vaginal infektion, mavesmerter og diarré. Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Vyndaqel fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Vyndaqel godkendt?

CHMP bemærkede, at Vyndaqel var mere effektivt end placebo til at udskyde nervebeskadigelse hos patienter med transthyretin amyloidose, bortset fra hos de patienter, som forlod undersøgelsen, fordi de havde behov for en levertransplantation. Lægemidlets sikkerhed rejste ikke store betænkeligheder, og risiciene ansås for at være håndterbare. CHMP konkluderede, at fordelene ved Vyndaqel opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse.

Vyndaqel er godkendt under "særlige omstændigheder". Det betyder, at det af videnskabelige årsager ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Vyndaqel, fordi transthyretin amyloidose er en sjælden sygdom. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Vyndaqel?

Virksomheden, som fremstiller Vyndaqel, skal gennemføre en undersøgelse af virkningerne af lægemidlet i en undergruppe af patienter med visse genetiske mutationer. Virksomheden skal også fremlægge data om den langsigtede sikkerhed efter markedsføringen.

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

Virksomheden, som markedsfører Vyndaqel, skal udlevere oplysningsmateriale til alle læger, som forventes at ordinere Vyndaqel. Materialet skal omfatte oplysninger om risici ved lægemidlet, herunder

risici for det ufødte barn og om, hvordan disse kan bidrage til en undersøgelse efter markedsføringen og til et overvågningsprogram for gravide kvinder.

I produktresuméet og indlægssedlen er der desuden indføjede anbefalinger og forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge med henblik på sikker og effektiv anvendelse af Vyndaqel.

Andre oplysninger om Vyndaqel

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Vyndaqel den 16. november 2011.

Den fuldstændige EPAR for Vyndaqel findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Vyndaqel, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Vyndaqel findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 06-2016.