



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Vyndaqel

Tafamidis

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Vyndaqel. Hierin wird erläutert, wie der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) das Arzneimittel beurteilt hat, um zu seinem befürwortenden Gutachten zur Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen und seinen Empfehlungen zu den Anwendungsbedingungen für Vyndaqel zu gelangen.

Was ist Vyndaqel?

Vyndaqel ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Tafamidis enthält. Es ist als Kapseln (20 mg) erhältlich.

Wofür wird Vyndaqel angewendet?

Vyndaqel wird zur Verzögerung der Nervenschädigung durch Transthyretin-Amyloidose angewendet, einer Erbkrankheit, bei der sich sogenannte Amyloid-Fasern im Körpergewebe, einschließlich des Nervengewebes, anreichern. Vyndaqel wird bei erwachsenen Patienten im Frühstadium der Nervenkrankheit (Stadium 1) angewendet.

Da es nur wenige Patienten mit Transthyretin-Amyloidose gibt, gilt die Krankheit als selten, und Vyndaqel wurde am 28. August 2006 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

Wie wird Vyndaqel angewendet?

Die Behandlung mit Vyndaqel sollte von einem Arzt eingeleitet und überwacht werden, der über Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit dieser Krankheit verfügt. Die empfohlene Dosis beträgt eine Kapsel einmal täglich.



Wie wirkt Vyndaqel?

Bei Patienten mit Transthyretin-Amyloidose ist ein Blutprotein namens Transthyretin defekt und spaltet sich leicht auf. Das aufgespaltene Protein bildet eine faserartige Substanz mit der Bezeichnung Amyloid, das sich in Geweben und Organen im Körper, einschließlich des Nervengewebes, ablagert, wo es deren normale Funktion behindert.

Der Wirkstoff in Vyndaqel, Tafamidis, ist ein Transthyretin-Stabilisator. Er bindet an das Protein Transthyretin und verhindert so, dass es aufgespalten wird. Dadurch wird die Bildung von Amyloid gestoppt und das Fortschreiten der Nervenkrankheit verlangsamt.

Wie wurde Vyndaqel untersucht?

Vyndaqel wurde bei 128 Patienten mit Transthyretin-Amyloidose mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit basierte auf einer Beurteilung der Nervenschädigung bei den Patienten und ihrer Lebensqualität nach 18-monatiger Behandlung.

Welchen Nutzen hat Vyndaqel in diesen Studien gezeigt?

Vyndaqel war bei der Behandlung von Patienten mit Transthyretin-Amyloidose wirksamer als Placebo. Bei 45 % der Patienten unter Vyndaqel verbesserte oder stabilisierte sich die Nervenfunktion, verglichen mit 30 % der Patienten, die Placebo einnahmen. Bei den Ergebnissen wurden Patienten mit einer schwereren Krankheit, die die Studie vorzeitig abbrachen, da sie sich einer Lebertransplantation unterziehen mussten, nicht berücksichtigt.

Welches Risiko ist mit Vyndaqel verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Vyndaqel (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) sind Harnwegsinfektionen (Infektionen der Urin ausscheidenden Strukturen), Vaginalinfektionen, Schmerzen im Oberbauch (Magenschmerzen) und Diarrhö (Durchfall). Die vollständige Auflistung aller Nebenwirkungen und Einschränkungen bei Vyndaqel ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Vyndaqel zugelassen?

Der CHMP war der Ansicht, dass Vyndaqel, abgesehen von den Patienten, die die Studie vorzeitig abbrachen, da sie sich einer Lebertransplantation unterziehen mussten, die Nervenschädigung bei Patienten mit Transthyretin-Amyloidose wirksamer verzögerte als Placebo. Das Arzneimittel wies keine erheblichen Sicherheitsbedenken auf und die Risiken wurden als beherrschbar angesehen. Der CHMP gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Vyndaqel gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Vyndaqel wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit von Transthyretin-Amyloidose aus wissenschaftlichen Gründen nicht möglich war, vollständige Informationen über Vyndaqel zu erlangen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Zusammenfassung wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Vyndaqel noch erwartet?

Der Hersteller von Vyndaqel wird eine Studie über die Wirkungen des Arzneimittels in einer Untergruppe von Patienten mit bestimmten genetischen Veränderungen durchführen. Das Unternehmen wird ebenfalls Langzeitsicherheitsdaten aus der Anwendungsbeobachtung bereitstellen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Vyndaqel ergriffen?

Das Unternehmen, das Vyndaqel in Verkehr bringt, wird für alle Ärzte, die Vyndaqel voraussichtlich verschreiben, Informationsmaterial bereitstellen. Darin wird eine Broschüre mit Informationen über die Risiken des Arzneimittels, einschließlich der Risiken für ungeborene Kinder, sowie über die Möglichkeiten der Teilnahme an einer Anwendungsbeobachtungsstudie und an einem Überwachungsprogramm für Schwangere enthalten sein.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Vyndaqel, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Vyndaqel

Am 16. November 2011 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Vyndaqel in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Vyndaqel finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Vyndaqel benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Vyndaqel finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 06-2016 aktualisiert.