



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Vyndaqel

tafamidis

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Vyndaqel. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Vyndaqel.

Τι είναι το Vyndaqel;

Το Vyndaqel είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία tafamidis. Διατίθεται υπό μορφή καψακίων (20 mg).

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Vyndaqel;

Το Vyndaqel ενδείκνυται για την επιβράδυνση της νευρολογικής δυσλειτουργίας που οφείλεται στην σχετιζόμενη με τρανσθυρετίνη αμυλοείδωση, μια κληρονομική ασθένεια στην οποία ίνες, ονομαζόμενες αμυλοειδή, συσσωρεύονται σε ιστούς του σώματος, καθώς και γύρω από τα νεύρα. Το Vyndaqel χορηγείται σε ενήλικες ασθενείς με νευροπάθεια πρώιμου σταδίου (σταδίου 1).

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με σχετιζόμενη με τρανσθυρετίνη αμυλοείδωση και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Vyndaqel χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 28 Αυγούστου 2006.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς χρησιμοποιείται το Vyndaqel;

Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας με Vyndaqel πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό ειδικό στην αντιμετώπιση ασθενών με την εν λόγω ασθένεια. Η συνιστώμενη δόση είναι ένα καψάκιο μία φορά ημερησίως.



Πώς δρα το Vyndaqel;

Στους ασθενείς που πάσχουν από σχετιζόμενη με τρανσθυρετίνη αμυλοείδωση, μια πρωτεΐνη του αίματος, καλούμενη τρανσθυρετίνη, είναι ελαττωματική και διασπάται εύκολα. Η διασπασμένη πρωτεΐνη σχηματίζει ινώδεις ουσίες που ονομάζονται αμυλοειδή ινίδια, τα οποία συσσωρεύονται στους ιστούς και στα όργανα του σώματος, μεταξύ άλλων και γύρω από τα νεύρα, επηρεάζοντας τις φυσιολογικές λειτουργίες των οργάνων.

Η δραστική ουσία του Vyndaqel, η tafamidis, είναι σταθεροποιητής τρανσθυρετίνης. Προσκολλάται στην τρανσθυρετίνη, αποτρέποντας τη διάσπασή της. Κατ' αυτόν τον τρόπο αναστέλλει τον σχηματισμό αμυλοειδούς και επιβραδύνει την εξέλιξη της νευροπάθειας.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Vyndaqel;

Το Vyndaqel συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε 128 ασθενείς με σχετιζόμενη με τρανσθυρετίνη αμυλοείδωση. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας βασίστηκε στην εκτίμηση της νευροπάθειας και της ποιότητας ζωής των ασθενών ύστερα από 18 μήνες θεραπείας.

Ποιο είναι το όφελος του Vyndaqel σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Vyndaqel αποδείχθηκε αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο για τη θεραπεία ασθενών με σχετιζόμενη με τρανσθυρετίνη αμυλοείδωση. Η νευρολογική λειτουργία του 45% των ασθενών που έλαβαν Vyndaqel βελτιώθηκε ή σταθεροποιήθηκε έναντι του 30% των ασθενών που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Τα αποτελέσματα δεν αφορούν ασθενείς με σοβαρότερης μορφής ασθένεια, οι οποίοι αποχώρησαν νωρίς από τη μελέτη επειδή χρειάστηκε να υποβληθούν σε μεταμόσχευση ήπατος.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Vyndaqel;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Vyndaqel (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι λοίμωξη του ουροποιητικού συστήματος (λοίμωξη των ουροφόρων οδών), κοιλιακή λοίμωξη, άλγος στην άνω κοιλιακή χώρα (στομαχόπονος) και διάρροια. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Vyndaqel περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Vyndaqel;

Η CHMP επισήμανε ότι το Vyndaqel, εκτός από την περίπτωση των ασθενών που αποχώρησαν από τη μελέτη λόγω ανάγκης μεταμόσχευσης ήπατος, ήταν αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο για την επιβράδυνση της νευρολογικής βλάβης στους ασθενείς με σχετιζόμενη με τρανσθυρετίνη αμυλοείδωση. Δεν διαπιστώθηκε καμία σοβαρή ανησυχία σχετικά με την ασφάλεια του φαρμάκου ενώ θεωρήθηκε ότι οι κίνδυνοι είναι αντιμετωπίσιμοι. Ως εκ τούτου, η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του Vyndaqel υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Το Vyndaqel εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων». Αυτό σημαίνει ότι, λόγω της σπανιότητας της σχετιζόμενης με τρανσθυρετίνη αμυλοείδωσης, για επιστημονικούς λόγους, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Vyndaqel. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα αξιολογεί ετησίως κάθε νέα διαθέσιμη πληροφορία και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Vyndaqel αναμένεται να υποβληθούν;

Η εταιρεία που παρασκευάζει το Vyndaqel θα διενεργήσει μελέτη για τις επιδράσεις του φαρμάκου σε υποομάδα ασθενών με συγκεκριμένες γενετικές μεταλλάξεις. Η εταιρεία θα προσκομίσει, επίσης, δεδομένα για την μακροπρόθεσμη ασφάλεια μετά την κυκλοφορία του προϊόντος στην αγορά.

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

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Vyndaqel θα παράσχει ενημερωτικό υλικό σε όλους τους ιατρούς που θα συνταγογραφούν το Vyndaqel. Το υλικό θα περιλαμβάνει ενημερωτικό φυλλάδιο με πληροφορίες σχετικά με τους κινδύνους του φαρμάκου, περιλαμβανομένων των κινδύνων για το έμβρυο, καθώς και τον τρόπο διεξαγωγής μελέτης και προγράμματος εποπτείας για τις εγκύους μετά τη διάθεση του προϊόντος στην αγορά.

Οι συστάσεις και οι προφυλάξεις που πρέπει να τηρούνται από τους επαγγελματίες της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Vyndaqel συμπεριλαμβάνονται στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Λοιπές πληροφορίες για το Vyndaqel

Στις 16 Νοεμβρίου 2011, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Vyndaqel.

Η πλήρης EPAR του Vyndaqel διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Vyndaqel, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Vyndaqel διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 06-2016.