



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumen del EPAR para el público general

Vyndaqel

tafamidis

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Vyndaqel. En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización y unas recomendaciones sobre las condiciones de su uso.

¿Qué es Vyndaqel?

Vyndaqel es un medicamento que contiene el principio activo tafamidis. Se presenta en forma de cápsulas (20 mg).

¿Para qué se utiliza Vyndaqel?

Vyndaqel se utiliza para retrasar la alteración neurológica provocada por la amiloidosis transtiretina, una enfermedad hereditaria que se caracteriza por el depósito de material fibrilar amiloide en diversos tejidos periféricos del cuerpo, en particular alrededor de los nervios. Vyndaqel está indicado para pacientes adultos en la fase inicial de la neuropatía (fase 1).

Dado que el número de pacientes afectados por amiloidosis transtiretina es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Vyndaqel fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 28 de agosto de 2006.

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.

¿Cómo se usa Vyndaqel?

El tratamiento debe ser iniciado y supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con esta enfermedad. La dosis recomendada es de una cápsula una vez al día.



¿Cómo actúa Vyndaqel?

En pacientes con amiloidosis transtiretina, la proteína de la sangre denominada transtiretina no funciona correctamente y se disgrega con facilidad. Al disgregarse forma una sustancia fibrosa llamada amiloide que se deposita en los tejidos y órganos periféricos, así como alrededor de los nervios, e interfiere en su normal funcionamiento.

El principio activo de Vyndaqel, el tafamidis, es un estabilizador de la transtiretina, que se adhiere a la misma, lo que impide que esta se disgregue e interrumpe así la formación de amiloide frenando el progreso de la neuropatía.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Vyndaqel?

Vyndaqel se comparó con un placebo (un tratamiento ficticio) en 128 pacientes con amiloidosis transtiretina. El principal criterio de valoración de la eficacia se basó en la evaluación de los daños en el sistema nervioso del paciente y en la calidad de vida después de 18 meses de tratamiento.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Vyndaqel durante los estudios?

Vyndaqel fue más eficaz que el placebo en el tratamiento de los pacientes con amiloidosis transtiretina. En el 45 % de los pacientes que tomaban Vyndaqel, la función nerviosa o bien mejoró o se estabilizó, en comparación con el 30 % de los pacientes que tomaban placebo. Los resultados no tuvieron en cuenta a los pacientes en una fase más grave de la enfermedad que abandonaron prematuramente el estudio para ser sometidos a un trasplante de hígado.

¿Cuál es el riesgo asociado a Vyndaqel?

Los efectos adversos más habituales de Vyndaqel (observados en más de un paciente de cada 10) son infección del tracto urinario (infección de las estructuras que transportan la orina), infección vaginal, dolor abdominal alto (dolor de estómago) y diarrea. Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones de Vyndaqel, ver el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Vyndaqel?

El CHMP observó que, aparte de en los pacientes que abandonaron el estudio por necesitar un trasplante de hígado, Vyndaqel fue más eficaz que el placebo para retrasar la neuropatía en pacientes con amiloidosis transtiretina. El medicamento no presentó mayores peligros para la seguridad y se consideró que los riesgos podían controlarse. El CHMP decidió que los beneficios de Vyndaqel son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización.

Vyndaqel se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto significa que, dado que la amiloidosis transtiretina es una enfermedad rara por razones científicas, no ha sido posible obtener información exhaustiva sobre Vyndaqel. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará toda la información nueva de que se disponga y el presente resumen se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Vyndaqel?

La empresa que fabrica Vyndaqel efectuará un estudio sobre los efectos del medicamento en un subgrupo de pacientes con ciertas mutaciones genéticas. La empresa facilitará también información sobre la seguridad posterior a la comercialización.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Vyndaqel?

La empresa que comercializa Vyndaqel facilitará material educativo a todos los médicos que vayan a recetar el medicamento. El material incluirá un folleto informativo sobre los riesgos del medicamento, incluidos los riesgos para el feto, y sobre cómo contribuir a un estudio posterior a la comercialización y a un programa de supervisión de mujeres embarazadas.

En el Resumen de las Características del Producto y el folleto se han incluido recomendaciones y precauciones que deben adoptar los profesionales sanitarios y los pacientes para garantizar un uso seguro y eficaz de Vyndaqel.

Otras informaciones sobre Vyndaqel

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Vyndaqel el 16 de noviembre de 2011.

El EPAR completo de Vyndaqel se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Para mayor información sobre el tratamiento con Vyndaqel, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Vyndaqel puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 06-2016