



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kokkuvõte üldsusele

---

# Vyndaqel

tafamidis

See on ravimi Vyndaqel Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloa andmist; samuti esitatakse komitee soovitused, kuidas ravimit kasutada.

## Mis on Vyndaqel?

Vyndaqel on ravim, mis sisaldab toimeainena tafamidist. Seda turustatakse kapslitena (20 mg).

## Milleks Vyndaqeli kasutatakse?

Vyndaqeli kasutatakse transtüretiiniga seotud amüloidoosi (pärilik haigus, mille korral kogu organismis, samuti närvikiudude ümber tekivad amüloidsed fibrillid) põhjustatud närvikahjustuste progresseerumise aeglustamiseks. Vyndaqeli kasutatakse täiskasvanud patsientidel närvihaiguse varajases I staadiumis.

Et transtüretiiniga seotud amüloidoosiga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Vyndaqel 28. augustil 2006 harvikravimiks.

Vyndaqel on retseptiravim.

## Kuidas Vyndaqeli kasutatakse?

Ravi Vyndaqeliga tohib alustada üksnes kõnealuse haiguse ravis kogenud arst ning ravi peab toimuma tema järelevalve all. Soovitav annus on üks kapsel üks kord ööpäevas.

## Kuidas Vyndaqel toimib?

Transtüretiiniga seotud amüloidoosiga patsientidel on verevalk transtüretiin defektne ja laguneb kergesti. Lagunenud valgust tekib kiulise struktuuriga aine amüloid, mis koguneb organitesse ja kudesse, samuti närvide ümber, takistades nende normaalset toimimist.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Vyndaqeli toimeaine tafamidis on transtüretiini stabilisaator. See kinnitub transtüretiinile ja takistab selle lagunemist, mis peatab amüloidi tekke ning aeglustab närvihaiguse progresseerumist.

## **Kuidas Vyndaqeli uuriti?**

Vyndaqeli võrreldi platseeboga (näiv ravim) 128 patsiendil, kellel oli transtüretiiniga seotud amüloidoos. Efektiivsuse põhinäitaja tugines patsiendi närvikahjustuse hinnangule ja elukvaliteedi hinnangule pärast 18-kuulist ravi.

## **Milles seisneb uuringute põhjal Vyndaqeli kasulikkus?**

Transtüretiiniga seotud amüloidoosiga patsientide ravis oli Vyndaqel efektiivsem kui platseebo. Närvifunktsioonid paranesid või stabiliseerusid Vyndaqeli võtnud patsientidest 45%-l ja platseebot võtnutest 30%-l. Tulemused ei hõlma raskema haigusega patsiente, kes lahkusid uuringust, sest nad vajasisid maksasiirdamist.

## **Mis riskid Vyndaqeliga kaasnevad?**

Vyndaqeli kõige sagedamad kõrvalnähud (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) on kuseteede infektsioon, tupeinfektsioon, ülakõhu valu ja kõhulahtisus. Vyndaqeli kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

## **Miks Vyndaqel heaks kiideti?**

Inimravimite komitee märkis, et muudel patsientidel kui need, kes lahkusid uuringust maksasiirdamise vajaduse tõttu, toimis Vyndaqel efektiivsemalt kui platseebo, aeglustades transtüretiiniga seotud amüloidoosiga patsientidel närvikahjustuste teket. Ravim ei tekitanud suuri ohutusprobleeme ja riske peeti vastuvõetavateks. Seetõttu otsustas inimravimite komitee, et Vyndaqeli kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas anda ravimi müügiloa.

Vyndaqeli müügiluba anti erandkorras. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu teaduslikel põhjustel ei olnud Vyndaqeli kohta võimalik saada täielikku teavet. Euroopa Ravimiamet vaatab kogu võimaliku uue teabe igal aastal läbi ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

## **Mis teavet Vyndaqeli kohta veel oodatakse?**

Vyndaqeli tootja teeb uuringu ravimi mõju kohta teatud geenimutatsioonidega patsientide alamrühmas. Ettevõtte esitab ka pikaajalised turustamisjärgsed ohutusandmed.

## **Mis meetmed võetakse, et tagada Vyndaqeli ohutu ja efektiivne kasutamine?**

Vyndaqeli turustav ettevõtte annab teabematerjalid kõikidele ravimit määravatele arstidele. Teabematerjal sisaldab ravimi riskide teabelehte (kus on ka teave ravimi riskist lootele), samuti teavet, kuidas osaleda rasedate patsientide turustamisjärgses uuringus ja järelevalveprogrammis.

Vyndaqeli omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele lisati ravimi ohutu ja tõhusa kasutamise teave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

## Muu teave Vyndaqeli kohta

Euroopa Komisjon andis Vyndaqeli müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 16. novembril 2011.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Vyndaqeli kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Kui vajate Vyndaqeliga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Vyndaqeli kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 06-2016.