



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-yhteenveto

Vyndaqel

tafamidiisi

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Vyndaqel-valmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkettä ja päätynyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon sekä suositukseen Vyndaqelin käytön ehdoista.

Mitä Vyndaqel on?

Vyndaqel on lääke, jonka vaikuttava aine on tafamidiisi. Sitä saa kapseleina (20 mg).

Mihin Vyndaqelia käytetään?

Vyndaqelia käytetään transtyretiinivälitteisen amyloidoosin aiheuttamien hermovaurioiden viivästyttämiseen. Kyseessä on periytyvä sairaus, jossa kehon eri kudoksissa, myös hermojen ympärillä, muodostuu amyloideiksi kutsuttuja kuituja. Vyndaqelia käytetään aikuisilla potilailla, joiden hermosairaus on varhaisvaiheessa (vaihe 1).

Koska transtyretiinivälitteistä amyloidoosia sairastavien potilaiden määrä on pieni, taudin katsotaan olevan harvinainen. Siksi Vyndaqel nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten tautien hoidossa käytettäväksi lääkkeeksi) 28. elokuuta 2006.

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä.

Miten Vyndaqelia käytetään?

Vyndaqel-hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta tätä sairautta sairastavien potilaiden hoidosta. Hän myös valvoo hoitoa. Suositusannos on yksi kapseli kerran vuorokaudessa.

Miten Vyndaqel vaikuttaa?

Transtyretiinivälitteistä amyloidoosia sairastavien potilaiden veren transtyretiini-niminen proteiini on viallinen, ja se hajoaa helposti. Hajonnut proteiini muodostaa kuitumaista amyloidi-nimistä ainetta,

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



joka sakkautuu kudoksissa ja elimissä eri puolilla kehoa, myös hermojen ympärillä, missä se häiritsee niiden normaalia toimintaa.

Vyndaqelin vaikuttava aine tafamidiisi on transtyretiinin stabilisoija. Se kiinnittyy transtyretiiniin, joka estää proteiinia hajoamasta, ja lopettaa siten amyloidin muodostumisen ja hidastaa hermosairauden etenemistä.

Miten Vyndaqelia on tutkittu?

Vyndaqelia verrattiin lumelääkkeeseen 128:lla transtyretiinivälitteistä amyloidoosia sairastavalla potilaalla. Tehon pääasiallinen mitta perustui potilaan hermovaurioiden ja elämänlaadun arviointiin 18 kuukautta hoidon aloittamisesta.

Mitä hyötyä Vyndaqelista on havaittu tutkimuksissa?

Vyndaqel oli lumelääkettä tehokkaampaa transtyretiinivälitteisen amyloidoosin hoidossa. Hermotoiminnot joko paranivat tai tasaantuivat 45 %:lla Vyndaqelia saaneista potilaista verrattuna 30 %:iin lumelääkettä saaneilla potilailla. Näissä tuloksissa eivät olleet mukana sellaiset potilaat, joiden sairaus oli vakavampi ja joiden oli jätävä pois tutkimuksesta sen aikaisessa vaiheessa maksansiirron takia.

Mitä riskejä Vyndaqeliin liittyy?

Vyndaqelin yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin 1 potilaalla 10:stä) ovat virtsatietulehdukset, emätintulehdukset, ylävatsakivut sekä ripuli. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Vyndaqel-valmisteen sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Vyndaqel on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea totesi, että lukuun ottamatta tutkimuksesta maksansiirron vuoksi pois jääneitä potilaita Vyndaqel oli lumelääkettä tehokkaampaa transtyretiinivälitteistä amyloidoosia sairastavien potilaiden hermostovaurioiden viivyttämisessä. Lääkkeestä ei ilmennyt suurempia turvallisuuteen liittyviä huolenaiheita, ja riskejä pidettiin hallittavina. Lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Vyndaqelin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Vyndaqel on saanut myyntiluvan poikkeusolosuhteissa. Tämä tarkoittaa sitä, että koska transtyretiinivälitteinen amyloidoosi on harvinainen, Vyndaqelista ei ole ollut tieteellisistä syistä johtuen mahdollista saada kattavia tietoja. Euroopan lääkevirasto arvioi vuosittain uudet tiedot ja päivittää tarvittaessa tämän yhteenvedon.

Mitä tietoja Vyndaqelista odotetaan vielä saatavan?

Vyndaqelia valmistava yhtiö suorittaa lääkkeen vaikutuksia koskevan tutkimuksen potilaiden alaryhmässä, jossa esiintyy tiettyjä geneettisiä muutoksia. Lisäksi yhtiö toimittaa markkinoilletulon jälkeiseltä ajalta pitkäaikaista turvallisuutta koskevat tiedot.

Miten voidaan varmistaa Vyndaqelin turvallinen ja tehokas käyttö?

Vyndaqelia markkinoiva yhtiö toimittaa opetusmateriaalia kaikille sitä mahdollisesti määrääville lääkäreille. Materiaaliin sisältyy esite, jossa on tietoa lääkkeen riskeistä, mukaan lukien

syntymättömään lapseen kohdistuvat riskit, sekä siitä, miten voi osallistua markkinoilletulon jälkeiseen tutkimukseen ja raskaana olevien naisten seurantatutkimukseen.

Vyndaqel-valmisteen turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettavaksi.

Muuta tietoa Vyndaqelista

Euroopan komissio myönsi Vyndaqelille 16. marraskuuta 2011 koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan.

Vyndaqelin koko EPAR-arviointilausunto on viraston verkkosivustolla [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Lisätietoja Vyndaqel-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Vyndaqelista antamasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 06-2016.