



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Vyndaqel

tafamidis

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Vyndaqel. Objašnjava kako je Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) ocijenio lijek da bi donio svoje mišljenje u korist izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet te preporuke o uvjetima za primjenu lijeka Vyndaqel.

Što je Vyndaqel?

Vyndaqel je lijek koji sadrži djelatnu tvar tafamidis. Dostupan je u obliku kapsula (20 mg).

Za što se Vyndaqel koristi?

Lijek Vyndaqel upotrebljava se za odgađanje oštećenja živaca koja su uzrokovana transtiretinskom amiloidozom, nasljednom bolešću pri kojoj se niti koje se zovu amiloid nakupljaju u tkivu u tijelu, uključujući i oko živaca. Lijek Vyndaqel upotrebljava se u odraslih bolesnika u ranoj fazi bolesti živaca (1. stadij).

Budući da je broj bolesnika s transtiretinskom amiloidozom nizak, bolest se smatra „rijetkom“ te se od 28. kolovoza 2006. Vyndaqel označava kao lijek za liječenje rijetkih bolesti.

Lijek se izdaje se samo na liječnički recept.

Kako se Vyndaqel koristi?

Liječenje mora započeti i nadzirati liječnik koji je upoznat s liječenjem bolesnika s ovom bolešću. Preporučena doza je jedna kapsula na dan.



Kako djeluje Vyndaqel?

U bolesnika s transtiretinskom amiloidozom bjelančevina u krvi koja se zove transtiretin oštećena je i lako se raspada. Raspadnuta bjelančevina stvara vlaknastu tvar naziva amiloid koja se taloži u tkivu i organima u tijelu, uključujući i oko živaca, i ometa njihove normalne funkcije.

Djelatna tvar lijeka Vyndaqel, tafamidis, stabilizator je transtiretina. Tafamidis se veže na transtiretin, što sprečava raspadanje bjelančevine i time zaustavlja stvaranje amiloida i usporava napredovanje bolesti živaca.

Kako je Vyndaqel ispitivan?

Lijek Vyndaqel uspoređen je u 128 bolesnika s transtiretinskom amiloidozom s placebo (slijepo liječenje). Glavna mjera djelotvornosti temeljena je na procjeni oštećenja živaca bolesnika i kvalitete života nakon 18 mjeseci liječenja.

Koje su koristi lijeka Vyndaqel utvrđene u ispitivanjima?

Lijek Vyndaqel pokazao se djelotvorniji od placeba u liječenju bolesnika s transtiretinskom amiloidozom. Funkcija živaca poboljšala se ili stabilizirala u 45 % bolesnika koji su uzimali lijek Vyndaqel, u usporedbi s 30 % bolesnika koji su uzimali placebo. Rezultati nisu obuhvaćali bolesnike u kojih je bolest bila ozbiljnija, odnosno koji su ranije napustili ispitivanje jer su morali biti podvrgnuti transplantaciji jetre.

Koji su rizici povezani s lijekom Vyndaqel?

Najčešće nuspojave lijeka Vyndaqel (mogu se javiti u više od 1 na 10 bolesnika) jesu infekcija mokraćnog sustava (infekcija struktura koje prenose urin), vaginalna infekcija, bol u gornjem dijelu abdomena (bol u trbuhu) i proljev. Potpuni popis nuspojava i ograničenja zabilježenih pri primjeni lijeka Vyndaqel potražite u uputi o lijeku.

Zašto je Vyndaqel odobren?

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) ocijenio je da je lijek Vyndaqel, uz iznimku bolesnika koji su napustili ispitivanje jer su morali biti podvrgnuti transplantaciji jetre, bio djelotvorniji od placeba u odgađanju oštećenja živaca u bolesnika s transtiretinskom amiloidozom. Nisu ustanovljeni razlozi za ozbiljnu zabrinutost u pogledu sigurnosti lijeka i smatralo se da se rizicima može upravljati. CHMP je stoga odlučio da koristi od lijeka Vyndaqel nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Vyndaqel je odobren u „iznimnim okolnostima“. To znači da zbog rijetke učestalosti transtiretinske amiloidoze, a iz znanstvenih razloga, nije bilo moguće dobiti potpune informacije o lijeku Vyndaqel. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove dostupne informacije te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Vyndaqel?

Tvrtka koja proizvodi lijek Vyndaqel provest će ispitivanje o učincima lijeka u podskupini bolesnika s određenim genskim mutacijama. Proizvođač lijeka također će osigurati dugoročne podatke o sigurnosti primjene nakon izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Vyndaqel?

Tvrtka koja lijek Vyndaqel stavlja u promet osigurat će edukativne materijale za liječnike od kojih se očekuje da će prepisivati lijek Vyndaqel. U materijalima će se nalaziti uputa s informacijama o rizicima povezanim s lijekom, uključujući rizike za nerođeno dijete, o tome kako pridonijeti ispitivanju nakon izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet i o programu nadzora za trudnice.

Preporuke i mjere opreza koje zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju poštovati radi sigurne i učinkovite uporabe lijeka Vyndaqel također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Vyndaqel

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Vyndaqel na snazi u Europskoj uniji od 16. studenog 2011.

Cjeloviti EPAR za lijek Vyndaqel nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Više informacija o terapiji lijekom Vyndaqel pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svojem liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Vyndaqel dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Ovaj sažetak je posljednji put ažuriran u lipnju 2016.