



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Vyndaqel

tafamidisz

Ez a dokumentum a Vyndaqel-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Vyndaqel alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Vyndaqel?

A Vyndaqel egy tafamidisz nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Kapszula formájában kapható (20 mg).

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Vyndaqel?

A Vyndaqel-t a transztiretin amiloidózis, egy örökletes betegség által okozott idegkárosodás késleltetésére alkalmazzák. Ennél a betegségnél amiloid nevű rostok halmozódnak fel a test különféle szöveteiben, többek között az idegek körül is. A Vyndaqel-t az idegkárosodás korai szakaszában (1. stádium) alkalmazzák felnőtt betegeknél.

Mivel a transztiretin amiloidózisban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Vyndaqel-t 2006. augusztus 28-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Vyndaqel-t?

A kezelést az ebben a betegségben szenvedő betegek kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie. Az ajánlott adag naponta egyszer egy kapszula.



Hogyan fejt ki hatását a Vyndaqel?

A transztiretin amiloidózisban szenvedő betegek vérében a transztiretin nevű fehérje hibásan működik és ezért könnyen törik. A törött fehérjéből egy amiloid nevű rostos anyag keletkezik, amely a szervezetben felhalmozódik a szövetekben és a szervekben, többek között az idegek körül is, és akadályozza azok normál működését.

A Vyndaqel hatóanyaga, a tafamidisz egy transztiretin stabilizátor. A transztiretinhez kötődik, amely megakadályozza a fehérje szétesését, leállítva ezzel az amiloidképződést és lelassítva az idegkárosodás rosszabbodását.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Vyndaqel-t?

A Vyndaqel-t placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze 128, transztiretin amiloidózisban szenvedő betegnél. A fő hatékonysági mutató a betegek idegkárosodásának és életminőségének értékelésén alapult 18 hónapnyi kezelést követően.

Milyen előnyei voltak a Vyndaqel alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Vyndaqel a placebónál hatásosabb volt a transztiretin amiloidózisban szenvedő betegek kezelésében. A Vyndaqel-t szedő betegek 45%-ánál javult vagy stabilizálódott az idegfunkció, szemben a placebót szedő betegek 30%-ával. Az eredményekben nem szerepeltek azok a súlyos betegek, akik májátültetés szükségessége miatt idő előtt kiléptek a vizsgálatból.

Milyen kockázatokkal jár a Vyndaqel alkalmazása?

A Vyndaqel leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) a húgyúti fertőzés, vaginális fertőzés, felhasi fájdalom (gyomorfájás) és a hasmenés. A Vyndaqel alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás, valamint a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Vyndaqel forgalomba hozatalát?

A CHMP megjegyezte, hogy eltekintve a vizsgálatból májátültetés szükségessége miatt kilépő betegektől, a Vyndaqel a placebónál hatásosabban késleltette az idegkárosodást a transztiretin amiloidózisban szenvedő betegeknél. A gyógyszer alkalmazása nem vetett fel jelentős biztonságossági aggályokat, és a kockázatokat kezelhetőnek tekintették. A CHMP megállapította, hogy a Vyndaqel alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A Vyndaqel forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a transztiretin amiloidózis alacsony előfordulási aránya miatt, tudományos okokból nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Vyndaqel-ről. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

Milyen információk várhatók még a Vyndaqel-lel kapcsolatban?

A Vyndaqel-t gyártó vállalat vizsgálatot fog végezni a gyógyszer hatásaival kapcsolatban a betegek egy olyan alcsoportjánál, amelynek tagjai bizonyos genetikai mutációkat hordoznak. A vállalat hosszú távú, forgalomba hozatal utáni biztonságossági adatokat is be fog nyújtani.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Vyndaqel biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Vyndaqel-t forgalmazó vállalat oktatóanyagot biztosít a Vyndaqel-t a jövőben várhatóan felíró összes orvos számára. Az anyag tartalmaz egy füzetet a gyógyszer kockázatairól, beleértve a még meg nem született gyermekek érintő kockázatokról is, valamint a forgalomba hozatal utáni vizsgálatban és felügyeleti programban való részvételről terhes nők számára.

A Vyndaqel biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Vyndaqel-lel kapcsolatos egyéb információ

2011. november 16-án az Európai Bizottság a Vyndaqel-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Vyndaqel-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Amennyiben a Vyndaqel-lel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Vyndaqel-re vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 06-2016.