



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Riassunto destinato al pubblico

Vyndaqel

tafamidis

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Vyndaqel. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Vyndaqel.

Che cos'è Vyndaqel?

Vyndaqel è un medicinale contenente il principio attivo tafamidis. È disponibile in capsule (20 mg).

Per che cosa si usa Vyndaqel?

Vyndaqel è usato per ritardare il danno nervoso causato dall'amiloidosi da transtiretina, una malattia ereditaria in cui fibre denominate amiloidi si accumulano nei tessuti dell'organismo, compresi i nervi. Vyndaqel è usato nei pazienti adulti nella fase precoce del disturbo nervoso (fase 1).

Poiché il numero di pazienti affetti da amiloidosi da transtiretina è basso, la malattia è considerata "rara" e Vyndaqel è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 28 agosto 2006.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Vyndaqel?

Il trattamento deve essere avviato e controllato da un medico esperto nella gestione di pazienti affetti da questa malattia. La dose raccomandata è di una capsula una volta al giorno.

Come agisce Vyndaqel?

Nei pazienti affetti da amiloidosi da transtiretina, una proteina del sangue denominata transtiretina è difettosa e si scompone facilmente. Una volta scompostasi, tale proteina forma una sostanza fibrosa



denominata amiloide, che si deposita nei tessuti e organi in tutto il corpo, compresi i nervi, interferendo con le loro normali funzioni.

Il principio attivo di Vyndaqel, tafamidis, è uno stabilizzatore della transtiretina, alla quale si unisce. Tale azione previene la scomposizione della proteina, arrestando quindi la formazione di amiloide e rallentando la progressione della malattia nervosa.

Quali studi sono stati effettuati su Vyndaqel?

Vyndaqel è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio) in 128 pazienti affetti da amiloidosi da transtiretina. La principale misura dell'efficacia era basata su una valutazione del danno nervoso nei pazienti e della loro qualità di vita dopo 18 mesi di trattamento.

Quali benefici ha mostrato Vyndaqel nel corso degli studi?

Vyndaqel è stato più efficace del placebo nel trattamento dei pazienti affetti da amiloidosi da transtiretina. Nel 45 % dei pazienti che assumevano Vyndaqel la funzione nervosa è migliorata o si è stabilizzata, rispetto al 30 % di quelli trattati con placebo. Nei risultati non rientrano pazienti affetti dalla malattia in forma più grave che hanno abbandonato lo studio in anticipo per la necessità di sottoporsi a un trapianto di fegato.

Qual è il rischio associato a Vyndaqel?

Gli effetti indesiderati più comuni di Vyndaqel (osservati in più di 1 paziente su 10) sono infezione del tratto urinario (infezione delle strutture che trasportano l'urina), infezione vaginale, dolore all'addome superiore (mal di stomaco) e diarrea. Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Vyndaqel, vedere il foglio illustrativo.

Perché è stato approvato Vyndaqel?

Il CHMP ha notato che, a parte i pazienti che hanno abbandonato lo studio perché necessitavano di un trapianto di fegato, Vyndaqel è stato più efficace del placebo nel ritardare il danno nervoso nei pazienti affetti da amiloidosi da transtiretina. Il medicinale non ha presentato importanti problemi di sicurezza e i rischi sono stati considerati gestibili. Il CHMP ha quindi concluso che i benefici di Vyndaqel sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Vyndaqel è stato autorizzato in "circostanze eccezionali". Ciò significa che, data la rarità dell'amiloidosi da transtiretina, per motivi scientifici non è stato possibile ottenere informazioni complete su Vyndaqel. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni eventualmente disponibili e, se necessario, questo riassunto sarà aggiornato.

Quali informazioni sono ancora attese per Vyndaqel?

La ditta che produce Vyndaqel effettuerà uno studio sugli effetti del medicinale in un sottogruppo di pazienti con determinate mutazioni genetiche. Inoltre, si è impegnata a fornire, successivamente all'immissione in commercio, informazioni relative alla sicurezza a lungo termine.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Vyndaqel?

La ditta che commercializza Vyndaqel fornirà materiale informativo a tutti i medici che lo potrebbero prescrivere. Tale materiale conterrà un foglio illustrativo con informazioni sui rischi del medicinale, compresi quelli per il feto, e su come contribuire a uno studio post-immissione in commercio del medicinale e a un programma di sorveglianza per le donne in gravidanza.

Al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo sono state aggiunte anche le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare relativamente alla sicurezza e all'uso efficace di Vyndaqel.

Altre informazioni su Vyndaqel

Il 16 novembre 2011 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Vyndaqel, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Vyndaqel consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Vyndaqel, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Vyndaqel è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 06-2016.