



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiamai visuomenei

Vyndaqel

tafamidis

Šis dokumentas yra Vyndaqel Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Vyndaqel registracijos pažymėjimą ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

Kas yra Vyndaqel?

Vyndaqel – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos tafamidžio. Gaminamos šio vaisto kapsulės (po 20 mg).

Kam vartojamas Vyndaqel?

Vyndaqel skirtas transtiretino amiloidozės, paveldimos ligos, kai aplink kūno audinius, įskaitant nervus, ima kauptis amiloidinės fibrilės, sukeliama nervų ląstelių nykimui lėtinti. Vyndaqel skiriamas suaugusiems pacientams ankstyvoje nervų ligos stadijoje (I stadijoje).

Kadangi transtiretino amiloidoze sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, 2006 m. rugpjūčio 28 d. Vyndaqel buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Kaip vartoti Vyndaqel?

Gydymą Vyndaqel turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis šia liga sergančių pacientų gydymo patirties. Rekomenduojama dozė – viena kapsulė per parą.

Kaip veikia Vyndaqel?

Sergant transtiretino amiloidoze, kraujo baltymas transtiretinas yra su defektais ir lengvai suyra. Suiręs baltymas suformuoja skaidulinę medžiagą amiloidą, kuri kaupiasi kūno audiniuose ir organuose, taip pat aplink nervus, taip sutrikdydamas jų įprastą veiklą.

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



Vyndaqel veiklioji medžiaga tafamidis yra transtiretino stabilizatorius. Jis jungiasi prie transtiretino, neleidžiančio baltymui skilti, taip neleisdamas kauptis amiloidui ir lėtindamas nervų ligos progresavimą.

Kaip buvo tiriamas Vyndaqel?

Vyndaqel buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos) tyrime su 128 transtiretino amiloidoze sergančiais pacientais. Apie vaisto veiksmingumą buvo sprendžiama pagal paciento nervų būklės ir gyvenimo kokybės vertinimą, atliktą po 18 gydymo mėnesių.

Kokia Vyndaqel nauda nustatyta tyrimuose?

Transtiretino amiloidoze sergantiems pacientams Vyndaqel buvo veiksmingesnis už placebo. 45 proc. Vyndaqel vartojusių pacientų nervų funkcija arba pasitaisė, arba stabilizavosi, palyginti su 30 proc. placebo vartojusių pacientų. Šie rezultatai neapima sunkesnės formos liga sergančių pacientų, kurie pasitraukė iš tyrimo, nes jiems reikėjo persodinti kepenis.

Kokia rizika siejama su Vyndaqel vartojimu?

Dažniausi Vyndaqel šalutiniai reiškiniai (pasireiškę daugiau nei 1 pacientui iš 10) yra šlapimtakių infekcija, makšties infekcija, skausmas viršutinėje pilvo srityje (skrandžio skausmas) ir viduriavimas. Išsamų visų šalutinių reiškinų ir apribojimų, apie kuriuos pranešta gydant Vyndaqel, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Vyndaqel buvo patvirtintas?

CHMP pažymėjo, kad išskyrus pacientus, kurie pasitraukė iš tyrimo, nes jiems reikėjo persodinti kepenis, Vyndaqel veiksmingiau už placebo lėtino nervų ląstelių nykimą pacientams, sergantiems transtiretino amiloidoze. Didesnių problemų dėl šio vaisto saugumo nekilo, o rizika įvertina kaip valdoma. Todėl CHMP padarė išvadą, kad Vyndaqel teikiama nauda yra didesnė už keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo registracijos pažymėjimą.

Vyndaqel registruotas išimtinėmis sąlygomis. Tai reiškia, kad dėl transtiretino amiloidozės retumo ir mokslinių priešasčių nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Vyndaqel. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Vyndaqel?

Vyndaqel gaminanti bendrovė atliks šio vaisto poveikio tyrimą su tam tikrų genų mutacijų turinčių pacientų pogrupiu. Ji taip pat pateiks ilgalaikius poregistracinių tyrimų saugumo duomenis.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Vyndaqel vartojimą?

Bendrovė turi aprūpinti visus Vyndaqel skirsiančius gydytojus informacine medžiaga, kurioje taip pat turi būti pateiktas lankstinukas su informacija apie vaisto keliamą riziką ir grėsmę negimusiam kūdikiui. Taip pat turi būti nurodyta, kaip padėti vykdyti poregistracinį tyrimą ir nėščių moterų stebėjimo programą.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Vyndaqel vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Vyndaqel

Europos Komisija 2011 m. lapkričio 16 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Vyndaqel registracijos pažymėjimą.

Išsamų Vyndaqel EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Daugiau informacijos apie gydymą Vyndaqel rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės apie Vyndaqel santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2016-06.