



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Vyndaqel

tafamidis

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (*EPAR*) kopsavilkums par *Vyndaqel*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (*CHMP*) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *Vyndaqel* lietošanu.

Kas ir *Vyndaqel*?

Vyndaqel ir zāles, kas satur aktīvo vielu *tafamidis*. Tās ir pieejamas kapsulās (20 mg).

Kāpēc lieto *Vyndaqel*?

Vyndaqel lieto, lai aizkavētu nervu bojājumus, ko izraisa transtiretīna amiloidoze — iedzimta slimība, kad šķiedras, ko dēvē par amiloīdiem, uzkrājas organisma audos, arī ap nerviem. *Vyndaqel* lieto pieaugušajiem pacientiem nervu slimības agrīnā stadijā (1. stadijā).

Tā kā transtiretīna amiloidozes pacientu skaits ir mazs, slimību uzskata par retu un 2006. gada 28. augustā *Vyndaqel* apstiprināja kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Vyndaqel*?

Ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi šīs slimības ārstēšanā. Ieteicamā deva ir viena kapsula reizi dienā.

Kā *Vyndaqel* darbojas?

Pacientiem ar transtiretīna amiloidozi asins proteīns, ko dēvē par transtiretīnu, ir defektīvs un viegli sadalās. Proteīni pēc sadalīšanās veido fibrozu substanci, ko dēvē par amiolīdu, kas uzkrājas ķermeņa audos un orgānos, tostarp ap nerviem, kur tādējādi traucē normālu darbību.



Vyndaqel aktīvā viela *tafamidis* ir transtiretīna stabilizators. Tas piesaistās pie transtiretīna, kavējot šā proteīna sadalīšanos, tādējādi apturot amiloīdu veidošanos un palēninot nervu slimības attīstību.

Kā noritēja *Vyndaqel* izpēte?

Vyndaqel tika salīdzinātas ar placebo (fiktīvu ārstēšanu) 128 pacientiem, kuri slimo ar transtiretīna amiloidozi. Galvenais efektivitātes rādītājs bija pacientu nervu bojājumu un dzīves kvalitātes novērtējums pēc 18 mēnešu ilgas ārstēšanas.

Kādas bija *Vyndaqel* priekšrocības šajos pētījumos?

Vyndaqel bija efektīvākas nekā placebo, ārstējot pacientus ar transtiretīna amiloidozi. Nervu darbība uzlabojās vai stabilizējās 45 % pacientu, kuri lietoja *Vyndaqel*, salīdzinot ar 30 % pacientu, kuri lietoja placebo. Šajos rezultātos nav ietverti dati par pacientiem ar smagāku slimības formu, jo viņi izstājās no pētījuma agrāk sakarā ar aknu pārstādīšanu.

Kāds risks pastāv, lietojot *Vyndaqel*?

Visbiežāk novērotās *Vyndaqel* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir urīnceļu infekcija (infekcija urīnizvades orgānos), vagīnas infekcija, sāpes vēdera augšdaļā (grēmas) un caureja. Pilns visu *Vyndaqel* izraisīto blakusparādību un ierobežojumu saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Vyndaqel* tika apstiprinātas?

CHMP atzīmēja, ka, izņemot pacientus, kuri izstājās no pētījuma, jo viņiem bija nepieciešama aknu pārstādīšana, *Vyndaqel* bija efektīvākas nekā placebo, kavējot nervu bojājumus pacientiem ar transtiretīna amiloidozi. Zāles neradīja nopietnas bažas par drošumu, un riska faktori tika uzskatīti par pārvaldāmiem. Tāpēc *CHMP* nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot *Vyndaqel*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

Vyndaqel tika apstiprinātas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar transtiretīna amiloidozes retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu zinātniski pamatotu informāciju par *Vyndaqel*. Eiropas Zāļu aģentūra ik gadu pārbauda visu pieejamo jauno informāciju un vajadzības gadījumā atjaunina šo kopsavilkumu.

Kāda informācija vēl ir sagaidāma par *Vyndaqel*?

Uzņēmums, kas ražo *Vyndaqel*, veiks pētījumu par šo zāļu iedarbību to pacientu apakšgrupā, kuriem ir noteiktas ģenētiskās mutācijas. Uzņēmums sniegs arī ilgtermiņa pēcreģistrācijas drošuma datus.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu *Vyndaqel* lietošanu?

Uzņēmums, kas izplata *Vyndaqel*, visiem ārstiem, kuri varētu parakstīt *Vyndaqel*, izsniegs izglītojošus materiālus. Šajos materiālos būs iekļauta brošūra ar informāciju par risku saistībā ar šo zāļu lietošanu, tostarp risku nedzimušiem bērniem, un par to, kā atbalstīt pēcreģistrācijas pētījumu un uzraudzības programmu grūtniecēm.

Vyndaqel zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā ir ietverta drošuma informācija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Cita informācija par *Vyndaqel*

Eiropas Komisija 2011. gada 16. novembrī izsniedza *Vyndaqel* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Vyndaqel* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Vyndaqel* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Vyndaqel* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 6.2016.