



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

---

# Vyndaqel

tafamidis

Dan id-dokument huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Vyndaqel. Dan jispjega kif il-Kumitat għall-Prodotti Mediciċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iwwaluta l-medicina sabiex wasal għall-opinjoni favorevoli tiegħu li tingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-sug u r-rakkomandazzjonijiet tiegħu dwar il-kondizzjonijiet ta' użu għal Vyndaqel.

## X'inhu Vyndaqel?

Vyndaqel huwa medicina li fiha s-sustanza attiva tafamidis. Jiġi bħala kapsuli (20 mg).

## Għal xiex jintuża Vyndaqel?

Vyndaqel jintuża sabiex jittardja l-ħsara fin-nervituri kkawżata minn transtiretin amilodjosi, marda ereditarja li fiha l-fibri msejħa amilodji jingemgħu fit-tessuti ta' madwar il-ġisem fosthom madwar in-nervituri. Vyndaqel jintuża f'pazjenti adulti li jbatu mill-istadju inizjali tal-marda fin-nervituri (stadju 1).

Minħabba li n-numru ta' pazjenti bi transtiretin amilodjosi huwa wieħed baxx, il-marda hija meqjusa bħala 'rari', u Vyndaqel ġie denominat bħala 'medicina orfni' (medicina użata f'mard rari) fit-28 ta' Awwissu 2006.

Il-medicina tista' tinkiseb biss b'ricetta ta' tabib.

## Kif jintuża Vyndaqel?

Il-kura għandha tinbeda u tiġi sorveljata minn tabib li jkollu għarfien fil-ġestjoni ta' pazjenti li jbatu b'din il-marda. Id-doża rakkomandata hija ta' kapsula waħda darba kuljum.



## **Kif jaħdem Vyndaqel?**

F'pazjenti bi transtiretin amilojdosi, il-proteina fid-demmi li tissejjaħ transtiretin hija difettuża u titkisser malajr. Il-proteina mkisra tiffirma sustanza fibruża li tissejjaħ amilojd li tiġi depożitata f'tessuti u organi madwar il-ġisem, inkluż in-nervituri, fejn tinterferixxi mal-funzjonijiet normali tagħhom.

Is-sustanza attiva f'Vyndaqel, it-tafamidis, hija stabilizzatur tat-transtiretin. Din teħel ma' transtiretin, li tippreveni l-proteina milli tinkiser, u għalhekk twaqqaf il-formazzjoni ta' amilojd u tnaqqas il-progressjoni tal-marda tan-nervituri.

## **Kif ġie studjat Vyndaqel?**

Vyndaqel tqabbel ma' plaċebo (kura finta) f'128 pazjent li jbatu minn b'transtiretin amilojdosi. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien ibbażat fuq il-valutazzjoni tal-ħsara fin-nervituri tal-pazjent u l-kwalità tal-ħajja wara 18-il xahar ta' kura.

## **X'benefiċċju wera Vyndaqel matul l-istudji?**

Vyndaqel kien aktar effettiv mill-plaċebo fil-kura ta' pazjenti li jbatu minn transtiretin amilojdosi. F'45% tal-pazjenti li kienu qed jieħdu Vyndaqel, il-funzjoni tan-nervituri tjebet jew inkella stabbilizzat ruħha, meta mqabbla ma' 30% tal-pazjenti li kienu qed jieħdu l-plaċebo. Ir-riżultati ma nkludewx pazjenti b'mard aktar serju li ma baqgħux jieħdu sehem fl-istudju minħabba l-ħtieġa li jsirilhom trapjant tal-fwied.

## **X'inhum r-riskju assoċjat ma' Vyndaqel?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Vyndaqel (li dehru f'aktar minn pazjent 1 minn kull 10) huma infezzjonijiet fl-apparat urinarju (infezzjonijiet fl-istrutturi li jgħorru l-urina), infezzjoni fil-vagina, u ġiġħ addominali fin-naħa ta' fuq (uġiġħ ta' stonku), u dijarrea. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet kollha b'Vyndaqel, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex ġie approvat Vyndaqel?**

Is-CHMP innota li, minbarra f'dawk il-pazjenti li waqfu mill-istudju minħabba l-ħtieġa li jsirilhom trapjant tal-fwied, Vyndaqel kien aktar effettiv mill-plaċebo fid-dewmien tal-ħsara fin-nervituri f'pazjenti li jbatu minn transtiretin amilojdosi. Il-medicina ma pprezentat ebda tħassib serju rigward is-sigurtà tat-teħid tagħha u r-riskji ġew ikkunsidrati li huma ġestibbli. Is-CHMP iddeċieda li l-benefiċċji ta' Vyndaqel huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Vyndaqel ġie awtorizzat taħt 'ċirkostanzi ta' eċċezzjoni'. Dan ifisser li minħabba li l-marda transtiretin amilojdosi hija marda rari, għal raġunijiet xjentifiċi, ma kienx possibbli li jingabar it-tagħrif kollu dwar Vyndaqel. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini se tirrevedi kwalunkwe informazzjoni ġdida li tista' ssir disponibbli u dan is-sommarju jiġi aġġornat kif ikun meħtieġ.

## **X'tagħrif għadu mistenni dwar Vyndaqel?**

Il-kumpanija li timmanifattura Vyndaqel ser twettaq studju fuq l-effetti tal-medicina f'sottogrupp ta' pazjenti b'ċerti mutazzjonijiet ġenetiċi. Il-kumpanija ser tipprovdi wkoll informazzjoni rigward l-użu sigur tal-medicina fit-tul wara li tkun kisbet l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

## **X'mizuri qed jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effikaċi ta' Vyndaqel?**

Il-kumpanija li ser tpoġġi Vyndaqel fis-suq ser tipprovdi materjal edukattiv lit-tobba kollha li huma mistennija jippreskrivu Vyndaqel. Il-materjal ser jinkludi fuljett bl-informazzjoni dwar ir-riskji tal-mediċina inklużi r-riskji għat-tarbija fil-ġuf u kif wiehed jista' jikkontribwixxi għall-istudju li ser isir wara t-tqegħid fis-suq u l-programm ta' sorveljanza għal nisa tqal.

Ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li jeħtieġu jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għal użu sigur u effettiv ta' Vyndaqel ġew inklużi wkoll fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif.

### **Tagħrif ieħor dwar Vyndaqel**

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Vyndaqel fis-16 ta' Novembru 2011.

L-EPAR sħiħ għal Vyndaqel jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Vyndaqel, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Vyndaqel jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar f'06-2016.