



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Vyndaqel

tafamidis

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Vyndaqel. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Vyndaqel vast te stellen.

Wat is Vyndaqel?

Vyndaqel is een geneesmiddel dat de werkzame stof tafamidis bevat. Het is verkrijgbaar in de vorm van capsules (20 mg).

Wanneer wordt Vyndaqel voorgeschreven?

Vyndaqel wordt gebruikt om de zenuwbeschadigingen te vertragen die worden veroorzaakt door transthyretineamyloidose, een erfelijke ziekte waarbij vezels (amyloïden) worden gevormd in weefsels in het hele lichaam, onder meer rondom de zenuwen. Vyndaqel wordt gebruikt bij volwassen patiënten in een vroeg stadium van de zenuwaandoening (stadium 1).

Aangezien het aantal patiënten met transthyretineamyloidose klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Vyndaqel op 28 augustus 2006 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Hoe wordt Vyndaqel gebruikt?

De behandeling met Vyndaqel moet worden gestart en gecontroleerd door een arts die deskundig is op het gebied van de behandeling van patiënten met deze ziekte. De aanbevolen dosering is eenmaal daags één capsule.



Hoe werkt Vyndaqel?

Het bloedeiwit transthyretine is bij patiënten met transthyretineamyloïdose onvolkomen en kan gemakkelijk breken. Het gebroken eiwit vormt een vezelachtige substantie, amyloïde genaamd, dat wordt opgeslagen in weefsels en organen in het hele lichaam, ook rondom de zenuwen, waar het het normale functioneren van de weefsels en organen verstoort.

De werkzame stof in Vyndaqel, tafamidis, stabiliseert transthyretine. De stof hecht zich aan transthyretine, waardoor dit niet uiteenvalt, zodat de vorming van amyloïde wordt gestopt en de voortgang van de zenuwaandoening wordt vertraagd.

Hoe is Vyndaqel onderzocht?

Vyndaqel werd vergeleken met placebo (een schijnbehandeling) bij 128 patiënten met transthyretineamyloïdose. De belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid was gebaseerd op een beoordeling van de zenuwbeschadigingen van de patiënten en de kwaliteit van leven na achttien maanden behandeling.

Welke voordelen bleek Vyndaqel tijdens de studies te hebben?

Vyndaqel was effectiever dan placebo als behandeling van patiënten met transthyretineamyloïdose. Bij 45% van de patiënten die Vyndaqel gebruikten, was de zenuwfunctie verbeterd of gestabiliseerd, vergeleken met 30% van de patiënten die placebo kregen. In de resultaten zijn geen patiënten betrokken met een ernstiger vorm van de ziekte, die niet meer aan de studie konden deelnemen omdat zij een levertransplantatie moesten ondergaan.

Welke risico's houdt het gebruik van Vyndaqel in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Vyndaqel (waargenomen bij meer dan 1 op de 10 patiënten) zijn urineweginfecties, vaginale infectie, maagpijn en diarree. Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen en de beschrijving van de beperkende voorwaarden voor Vyndaqel.

Waarom is Vyndaqel goedgekeurd?

Het CHMP heeft geconstateerd dat, afgezien van de patiënten die niet meer aan de studie konden deelnemen vanwege een benodigde levertransplantatie, Vyndaqel effectiever was dan placebo in het vertragen van de zenuwbeschadiging bij patiënten met transthyretineamyloïdose. Het middel leverde geen grote veiligheidsbezwaren op en de risico's werden geacht beheersbaar te zijn. Het CHMP heeft geconcludeerd dat de voordelen van Vyndaqel groter zijn dan de risico's, en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van Vyndaqel.

Vyndaqel is goedgekeurd 'onder uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het vanwege de zeldzaamheid van transthyretineamyloïdose om wetenschappelijke redenen niet mogelijk was volledige informatie over Vyndaqel te verkrijgen. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Vyndaqel?

De fabrikant van Vyndaqel zal een studie uitvoeren naar de effecten van het middel bij een subgroep van patiënten met bepaalde genetische mutaties. Ook zal het bedrijf na het in de handel brengen langetermijngegevens over de veiligheid verstrekken.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Vyndaqel te waarborgen?

De firma die Vyndaqel in de handel brengt zal voorlichtingsmateriaal verstrekken aan alle artsen die naar verwachting Vyndaqel zullen voorschrijven. Dit materiaal bevat eveneens een folder met informatie over de risico's van het middel, ook voor ongeboren baby's, en over de wijze waarop kan worden bijgedragen aan een studie na het in de handel brengen en aan een geneesmiddelenbewakingsprogramma voor zwangere vrouwen.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Vyndaqel zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Vyndaqel

De Europese Commissie heeft op 16 november 2011 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Vyndaqel verleend.

Het volledige EPAR voor Vyndaqel is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Vyndaqel.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Vyndaqel is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 06-2016.