



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Vyndaqel

tafamidis

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Vyndaqel. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Vyndaqel do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

Co to jest Vyndaqel?

Vyndaqel jest lekiem zawierającym substancję czynną tafamidis. Lek jest dostępny w postaci kapsułek (20 mg).

W jakim celu stosuje się produkt Vyndaqel?

Vyndaqel stosuje się w celu opóźnienia uszkodzenia nerwów wywołanego amyloidozą transtyretynową – chorobą dziedziczną objawiającą się odkładaniem się włókien zwanych amyloidami w tkankach w całym organizmie, w tym w okolicy nerwów. Vyndaqel stosuje się u dorosłych pacjentów z początkową fazą choroby układu nerwowego (1. stadium choroby).

Z powodu małej liczby pacjentów cierpiących na amyloidozę transtyretynową chorobę uważa się za rzadką, dlatego też w dniu 28 sierpnia 2006 r. lek Vyndaqel został oznaczony jako lek sierocy (lek stosowany w leczeniu rzadkich chorób).

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak stosować produkt Vyndaqel?

Leczenie powinien rozpocząć i nadzorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu pacjentów z tą chorobą. Zalecana dawka leku to jedna kapsułka raz na dobę.



Jak działa produkt Vyndaqel?

U pacjentów z amyloidozą transtyretynową białko we krwi zwane transtyretyną jest wadliwe i łatwo się rozkłada. Rozłożone białko tworzy włóknistą substancję zwaną amyloidem, która odkłada się w tkankach i organach w całym ciele, w tym wokół nerwów, gdzie zaburza ich normalne działanie.

Substancja czynna leku Vyndaqel, tafamidis, jest stabilizatorem transtyretyny. Tafamidis przyłącza się do transtyretyny, przez co zapobiega rozkładowi białka, jednocześnie hamując tworzenie amyloidów i zwalniając tempo rozwoju choroby układu nerwowego.

Jak badano produkt Vyndaqel?

Vyndaqel porównywano z placebo (leczenie pozorowane) u 128 pacjentów z amyloidozą transtyretynową. Głównym kryterium oceny skuteczności była ocena stopnia uszkodzenia nerwów pacjentów oraz jakość życia po 18 miesiącach leczenia.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Vyndaqel zaobserwowano w badaniach?

Vyndaqel był skuteczniejszy od placebo w leczeniu pacjentów z amyloidozą transtyretynową. U 45% pacjentów przyjmujących Vyndaqel funkcjonowanie układu nerwowego uległo poprawie lub ustabilizowało się; u pacjentów przyjmujących placebo odsetek ten wyniósł 30%. Wyniki nie obejmowały pacjentów z cięższą postacią choroby, którzy przerwali badanie z powodu konieczności poddania się przeszczepowi wątroby.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Vyndaqel?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Vyndaqel (obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10) to zapalenie dróg moczowych, zapalenie pochwy, bóle w nadbrzuszu (bóle żołądka) i biegunka. Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu Vyndaqel znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdzono produkt Vyndaqel?

CHMP zauważył, że lek Vyndaqel był skuteczniejszy od placebo w opóźnianiu uszkodzenia nerwów u osób z amyloidozą transtyretynową, oprócz u pacjentów, którzy opuścili badanie z powodu konieczności przeszczepu wątroby. Lek nie budził żadnych poważniejszych obaw pod względem bezpieczeństwa, a ryzyko uznano za możliwe do kontrolowania. CHMP uznał zatem, że korzyści ze stosowania produktu Vyndaqel przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie leku do obrotu.

Lek Vyndaqel dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Oznacza to, że ponieważ amyloidoza transtyretynowa występuje rzadko, z przyczyn naukowych nie było możliwe zebranie pełnych informacji o leku Vyndaqel. Co roku Europejska Agencja Leków dokonuje przeglądu wszelkich nowych informacji na temat leku i w razie potrzeby uaktualnia niniejsze streszczenie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Vyndaqel?

Firma wytwarzająca produkt Vyndaqel przeprowadzi badanie działania leku na podgrupie pacjentów z pewnymi mutacjami genów. Firma dostarczy również długoterminowe dane o bezpieczeństwie stosowania produktu po jego wprowadzeniu na rynek.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Vyndaqel?

Firma wprowadzająca lek Vyndaqel do obrotu dostarczy materiały edukacyjne wszystkim lekarzom, którzy mają przepisywać ten lek. Materiały będą zawierać ulotkę z informacjami na temat ryzyka związanego ze stosowaniem leku, w tym ryzyka dla nienarodzonego dziecka, oraz sposobów wdrożenia badania leku po wprowadzeniu do obrotu i programu nadzoru u kobiet w ciąży.

Oprócz tego w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów w celu bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Vyndaqel.

Inne informacje dotyczące produktu Vyndaqel:

W dniu 16 listopada 2011 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Vyndaqel do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Vyndaqel znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Vyndaqel należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Vyndaqel znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Data ostatniej aktualizacji: 06.2016.