



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Vyndaqel

tafamidis

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Vyndaqel. O seu objetivo é explicar o modo como o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) avaliou o medicamento a fim de emitir um parecer favorável à concessão de uma autorização de introdução no mercado, bem como as suas recomendações sobre as condições de utilização do Vyndaqel.

O que é o Vyndaqel?

O Vyndaqel é um medicamento que contém a substância ativa tafamidis. Está disponível na forma de cápsulas (20 mg).

Para que é utilizado o Vyndaqel?

O Vyndaqel é utilizado para retardar os danos causados aos nervos pela amiloidose associada à transtirretina, uma doença hereditária na qual as fibras designadas amiloides se acumulam em tecidos no organismo, incluindo em torno dos nervos. O Vyndaqel é utilizado em doentes adultos na fase inicial da doença nervosa (estádio 1).

Dado o número de doentes afetados por amiloidose associada à transtirretina ser reduzido, esta doença é considerada rara, pelo que o Vyndaqel foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 28 de agosto de 2006.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.

Como se utiliza o Vyndaqel?

O tratamento deve ser iniciado e acompanhado por um médico com experiência no tratamento de doentes com esta doença. A dose recomendada é de uma cápsula uma vez por dia.



Como funciona o Vyndaqel?

Nos doentes com amiloidose associada à transtirretina, uma proteína do sangue designada transtirretina não funciona corretamente e divide-se facilmente. A proteína decomposta forma uma substância fibrosa designada amiloide que se deposita nos tecidos e órgãos no organismo, incluindo em torno dos nervos, onde interfere com as funções normais dos órgãos.

A substância ativa do Vyndaqel, o tafamidis, é um estabilizador da transtirretina. Liga-se à transtirretina, o que impede a proteína de se dividir, interrompendo a formação de amiloide e retardando a progressão da doença nervosa.

Como foi estudado o Vyndaqel?

O Vyndaqel foi comparado a um placebo (tratamento simulado) em 128 doentes com amiloidose associada à transtirretina. O principal parâmetro de eficácia baseou-se numa avaliação dos danos nos nervos dos doentes e da qualidade de vida após 18 meses de tratamento.

Qual o benefício demonstrado pelo Vyndaqel durante os estudos?

O Vyndaqel foi mais eficaz do que o placebo no tratamento de doentes com amiloidose associada à transtirretina. Em 45 % dos doentes tratados com Vyndaqel, a função nervosa melhorou ou estabilizou, em comparação com 30 % dos doentes que receberam placebo. Os resultados não incluem doentes com doença mais grave que abandonaram o estudo numa fase inicial devido à necessidade de um transplante de fígado.

Qual é o risco associado ao Vyndaqel?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Vyndaqel (observados em mais de 1 doente em cada 10) são infeção do trato urinário (infeção das estruturas que transportam a urina), infeção vaginal, dor abdominal superior (dor de barriga) e diarreia. Para a lista completa de todos os efeitos secundários e de restrições relativamente ao Vyndaqel, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Vyndaqel?

O CHMP concluiu que, à exceção dos doentes que abandonaram o estudo por necessidade de um transplante de fígado, o Vyndaqel foi mais eficaz do que o placebo no retardamento dos danos aos nervos nos doentes com amiloidose associada à transtirretina. O medicamento não suscitou questões de segurança importantes e os riscos foram considerados controláveis. O CHMP concluiu, por conseguinte, que os benefícios do Vyndaqel são superiores aos seus riscos e recomendou a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o medicamento.

O Vyndaqel foi autorizado em circunstâncias excecionais, o que significa que, dado a amiloidose associada à transtirretina ser uma doença rara, por motivos científicos, não foi possível obter informação completa sobre o Vyndaqel. A Agência Europeia de Medicamentos procederá, anualmente, à análise de novas informações eventualmente disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre o Vyndaqel?

A empresa que produz o Vyndaqel realizará um estudo sobre os efeitos do medicamento num subgrupo de doentes com determinadas mutações genéticas. A empresa fornecerá igualmente dados de segurança a longo prazo pós-comercialização.

Que medidas estão previstas para garantir a utilização segura e eficaz do Vyndaqel?

A empresa que comercializa o Vyndaqel fornecerá material educativo a todos os médicos que se espera venham a prescrever o Vyndaqel. O material incluirá um folheto com informação sobre os riscos do medicamento, incluindo os riscos para o feto, e sobre como contribuir para um estudo pós-comercialização e um programa de vigilância para mulheres grávidas.

Foram também incluídas no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo as recomendações e precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Vyndaqel.

Outras informações sobre o Vyndaqel

Em 16 de novembro de 2011, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para a União Europeia, para o medicamento Vyndaqel.

O EPAR completo relativo ao Vyndaqel pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports Para mais informações sobre o tratamento com o Vyndaqel, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Vyndaqel pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 06-2016.