



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/404200/2016
EMA/566707/2015/EMA/H/C/002294

Rezumat EPAR destinat publicului

Vyndaqel

tafamidis

Prezentul document este un rezumat al Raportului european public de evaluare (EPAR) pentru Vyndaqel. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de punere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Vyndaqel.

Ce este Vyndaqel?

Vyndaqel este un medicament care conține substanța activă tafamidis. Este disponibil sub formă de capsule (20 mg).

Pentru ce se utilizează Vyndaqel?

Vyndaqel se utilizează pentru a întârzia afectarea neurologică cauzată de amiloidoza cu transtiretină, o boală ereditară în care fibrele numite amiloid se acumulează în țesuturile din întregul organism, inclusiv în jurul nervilor. Vyndaqel se utilizează la pacienții adulți cu faza incipientă a bolii neurologice (faza 1).

Din cauza numărului mic de pacienți cu amiloidoză cu transtiretină, boala este considerată „rară”, iar Vyndaqel a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 28 august 2006.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală.

Cum se utilizează Vyndaqel?

Tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratarea pacienților cu această boală. Doza recomandată este de o capsulă o dată pe zi.



Cum acționează Vyndaqel?

La pacienții cu amiloidoză cu transtiretină, o proteină din sânge numită transtiretină este defectuoasă și se descompune ușor. Proteina descompusă formează o substanță fibroasă, numită amiloid care se depune în țesuturi și organe din corp, inclusiv în jurul nervilor, interferând astfel cu funcțiile normale ale organelor.

Substanța activă din Vyndaqel, tafamidisul, este un stabilizator al transtiretinei. Se leagă de transtiretină, ceea ce împiedică proteina să se descompună, oprind astfel formarea de amiloid și încetinind evoluția bolii neuroase.

Cum a fost studiat Vyndaqel?

Vyndaqel a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) pe 128 de pacienți cu amiloidoză cu transtiretină. Principala măsură a eficacității s-a bazat pe evaluarea afectării neurologice și a calității vieții după 18 luni de tratament.

Ce beneficii a prezentat Vyndaqel pe parcursul studiilor?

Vyndaqel a fost mai eficace decât placebo în tratarea pacienților cu amiloidoză cu transtiretină. La 45% din pacienții care au luat Vyndaqel, funcția nervoasă s-a îmbunătățit sau s-a stabilizat, în comparație cu 30% din pacienții care au luat placebo. Rezultatele nu au cuprins pacienții cu boală mai gravă care au părăsit studiul înainte de termen din cauza necesității unui transplant de ficat.

Care sunt riscurile asociate cu Vyndaqel?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Vyndaqel (observate la mai mult de 1 pacient din 10) sunt infecția căilor urinare (infecții ale structurilor care transportă urina), infecție vaginală, durere în etajul abdominal superior (durere de burtă) și diaree. Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Vyndaqel, citiți prospectul.

De ce a fost aprobat Vyndaqel?

CHMP a remarcat că, în afara pacienților care au părăsit studiul din cauza necesității unui transplant de ficat, Vyndaqel a fost mai eficace decât placebo în întârzierea afectării neuroase la pacienții cu amiloidoză cu transtiretină. Nu au existat motive de îngrijorare majore legate de siguranța medicamentului, iar riscurile au fost considerate gestionabile. Prin urmare, CHMP a hotărât că beneficiile Vyndaqel sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de punere pe piață pentru acest produs.

Vyndaqel a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, deoarece amiloidoză cu transtiretină este rară, din motive științifice, nu s-au putut obține informații complete despre Vyndaqel. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Vyndaqel?

Compania care produce Vyndaqel va desfășura un studiu cu privire la efectele medicamentului într-un subgrup de pacienți cu anumite mutații genetice. De asemenea, compania va furniza date de siguranță pe termen lung în perioada ulterioară punerii pe piață.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Vyndaqel?

Compania care comercializează Vyndaqel va furniza material educațional tuturor medicilor care urmează să prescrie medicamentul. Materialul va cuprinde un prospect cu informații despre riscurile medicamentului, inclusiv riscurile pentru fătul nenăscut, și modul de a contribui la un studiu ulterior punerii pe piață și un program de supraveghere pentru femei gravide.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Vyndaqel, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Alte informații despre Vyndaqel

Comisia Europeană a acordat o autorizație de punere pe piață pentru Vyndaqel, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 16 noiembrie 2011.

EPAR-ul complet pentru Vyndaqel este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Vyndaqel, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Vyndaqel este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 06-2016.