



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Vyndaqel

tafamidis

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Vyndaqel. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Vyndaqel.

Čo je liek Vyndaqel?

Vyndaqel je liek, ktorý obsahuje účinnú látku tafamidis. Dodáva sa vo forme kapsúl (20 mg).

Na čo sa liek Vyndaqel používa?

Liek Vyndaqel sa používa na oddialenie poškodenia nervov v dôsledku transtyreínovej amyloidózy. V prípade tejto dedičnej choroby sa vlákna nazývané amyloidy hromadia v tkanivách rôznych častí tela vrátane tých, ktoré sa nachádzajú okolo nervov. Liek Vyndaqel sa používa u dospelých pacientov v skorej fáze nervového ochorenia (1. stupeň).

Keďže je počet pacientov s transtyreínovou amyloidózou nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Vyndaqel 28. augusta 2006 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Vyndaqel užíva?

Liečba sa má začať a vykonávať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti so starostlivosťou o pacientov s touto chorobou. Odporúčaná dávka je jedna kapsula raz denne.

Akým spôsobom liek Vyndaqel účinkuje?

U pacientov s transtyreínovou amyloidózou je krvný proteín nazývaný transtyreín chybný a ľahko sa rozkladá. Rozložený proteín tvorí fibróznu látku nazývanú amyloid, ktorá sa ukladá v tkanivách a orgánoch v celom tele vrátane nervov, kde narušuje ich normálne funkcie.



Účinná látka lieku Vyndaqel, tafamidis, je stabilizátor transtyreínu. Naviaže sa na transtyreín, čím zabráni tomu, aby sa proteín rozkladal. V dôsledku toho sa prestáva tvoriť amyloid a dochádza ku spomaleniu progresie nervového ochorenia.

Ako bol liek Vyndaqel skúmaný?

Liek Vyndaqel sa porovnával s placebom (zdanlivým liekom) u 128 pacientov s transtyreínovou amyloidózou. Hlavné meradlo účinnosti bolo založené na hodnotení poškodenia nervov a kvality života pacientov po 18 mesiacoch liečby.

Aký prínos preukázal liek Vyndaqel v týchto štúdiách?

Liek Vyndaqel bol pri liečbe pacientov s transtyreínovou amyloidózou účinnejší ako placebo. V prípade 45 % pacientov užívajúcich liek Vyndaqel sa nervová funkcia buď zlepšila alebo stabilizovala, v porovnaní s 30 % pacientov užívajúcimi placebo. Do výsledkov neboli zahrnutí pacienti so závažnejšou formou ochorenia, ktorí predčasne opustili štúdiu, lebo museli podstúpiť transplantáciu pečene.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Vyndaqel?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Vyndaqel (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú infekcia močových ciest (infekcia štruktúr, cez ktoré prechádza moč), vaginálna infekcia, bolesť v hornej časti brucha (bolesť žalúdka) a hnačka. Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení lieku Vyndaqel sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Vyndaqel povolený?

Výbor CHMP poznamenal, že okrem pacientov, ktorí opustili štúdiu, lebo museli podstúpiť transplantáciu pečene, bol liek Vyndaqel účinnejší ako placebo pri odďaľovaní poškodenia nervov u pacientov s transtyreínovou amyloidózou. Liek nevyvolal žiadne vážne obavy, pokiaľ ide o jeho bezpečnosť, a jeho riziká boli považované za zvládnuteľné. Výbor preto dospel k záveru, že prínosy lieku Vyndaqel sú väčšie než riziká spojené s jeho užívaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie lieku na trh.

Liek Vyndaqel bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že vzhľadom na zriedkavosť výskytu transtyreínovej amyloidózy nebolo z vedeckých dôvodov možné získať úplné informácie o lieku Vyndaqel. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Vyndaqel dosiaľ neboli predložené?

Spoločnosť vyrábajúca liek Vyndaqel uskutoční štúdiu zameranú na účinky lieku v podskupine pacientov s určitými genetickými mutáciami. Spoločnosť poskytne aj dlhodobé údaje o bezpečnosti lieku z obdobia po povolení na uvedenie na trh.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Vyndaqel?

Spoločnosť, ktorá liek Vyndaqel uvádza na trh, poskytne vzdelávacie materiály všetkým lekárom, ktorí budú predpisovať liek Vyndaqel. Medzi materiálmi bude leták s informáciami o rizikách lieku vrátane

rizík, ktoré predstavuje pre nenarodené dieťa a spôsobu, ako možno prispieť k štúdii po uvedení na trh a programu dohľadu pre tehotné ženy.

Do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa boli takisto zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktorými sa majú riadiť zdravotnícki odborníci a pacienti na dosiahnutie bezpečného a účinného používania lieku Vyndaqel.

Ďalšie informácie o lieku Vyndaqel

Dňa 16. novembra 2011 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Vyndaqel na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Vyndaqel sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Vyndaqel, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Vyndaqel sa nachádza na webovej stránke agentúry EMA: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 06-2016