



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Povzetek EPAR za javnost

---

# Vyndaqel

tafamidis

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Vyndaqel. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

## Kaj je zdravilo Vyndaqel?

Vyndaqel je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino tafamidis. Na voljo je v obliki kapsul (20 mg).

## Za kaj se zdravilo Vyndaqel uporablja?

Zdravilo Vyndaqel se uporablja za upočasnitev napredovanja poškodbe živcev, ki jo povzroča transtiretinska amiloidoza, tj. dedna bolezen, pri kateri se amiloidna vlakna kopičijo v tkivih po telesu, vključno okoli živcev. Uporablja se pri odraslih bolnikih z zgodnjo stopnjo živčnega obolenja (stopnja 1).

Ker je bolnikov s transtiretinsko amiloidozo malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Vyndaqel 28. avgusta 2006 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept.

## Kako se zdravilo Vyndaqel uporablja?

Zdravljenje lahko uvede in nadzoruje le zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov s to boleznijo. Priporočeni odmerek je ena kapsula enkrat na dan.

## Kako zdravilo Vyndaqel deluje?

Pri bolnikih s transtiretinsko amiloidozo je krvna beljakovina, imenovana transtiretin, poškodovana in hitro razpade. Razgrajena beljakovina tvori vlaknasto snov, imenovano amiloid, ki se odlaga v tkivih in organih po vsem telesu, vključno okoli živcev, kjer moti njihovo normalno delovanje.



Zdravilna učinkovina zdravila Vyndaqel, tafamidis, je stabilizator transtiretina. Z vezavo na transtiretin prepreči njegovo razgradnjo, s čimer se ustavi tvorba amiloida in upočasnjuje napredovanje obolenja živcev.

## **Kako je bilo zdravilo Vyndaqel raziskano?**

Zdravilo Vyndaqel so primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine) pri 128 bolnikih s transtiretinsko amiloidozo. Glavno merilo učinkovitosti je temeljilo na oceni poškodbe živcev pri bolniku in kakovosti življenja po 18 mesecih zdravljenja.

## **Kakšne koristi je zdravilo Vyndaqel izkazalo med študijami?**

Zdravilo Vyndaqel je bilo učinkovitejše od placeba pri zdravljenju bolnikov s transtiretinsko amiloidozo. Pri 45 % bolnikov, ki so jemali zdravilo Vyndaqel, se je delovanje živcev bodisi izboljšalo bodisi stabiliziralo, v primerjavi s 30 % bolnikov, ki so prejeli placebo. Rezultati ne vključujejo bolnikov s hujšo obliko bolezni, ki so iz študije izstopili predčasno, ker so potrebovali presaditev jeter.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Vyndaqel?**

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Vyndaqel (opaženi pri več kot 1 bolniku od 10) so vnetje sečil (okužba struktur za odvajanje seča), vnetje nožnice, bolečine v zgornjem delu trebuha (bolečine v želodcu) in driska. Za celoten seznam vseh neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Vyndaqel glejte navodilo za uporabo.

## **Zakaj je bilo zdravilo Vyndaqel odobreno?**

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je menil, da se je zdravilo Vyndaqel pri bolnikih s transtiretinsko amiloidozo razen bolnikov, ki so študijo predčasno zapustili, ker so potrebovali presaditev jeter, izkazalo za učinkovitejše od placeba pri upočasnitvi napredovanja poškodbe živcev. Zdravilo ni pokazalo nobenih večjih varnostnih zadržkov, tveganja, povezana z njim, pa so obvladljiva. CHMP je zaključil, da so koristi zdravila Vyndaqel večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj izda dovoljenje za promet.

Zdravilo Vyndaqel je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti transtiretinske amiloidoze iz znanstvenih razlogov ni bilo mogoče pridobiti popolnih informacij o njem. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in posodobila povzetek glavnih značilnosti zdravila, če bo potrebno.

## **Katere informacije o zdravilu Vyndaqel še pričakujemo?**

Družba, ki izdeluje zdravilo Vyndaqel, bo izvedla študijo učinkov zdravila v podskupini bolnikov z določenimi genskimi mutacijami. Zagotovila bo tudi dolgoročne podatke o varnosti zdravila v obdobju po pridobitvi dovoljenja za promet.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Vyndaqel?**

Družba, ki trži zdravilo Vyndaqel, bo vsem zdravnikom, ki naj bi ga predpisovali, priskrbelo ustrezno izobraževalno gradivo. To bo vključevalo brošuro z informacijami o tveganjih zdravila, vključno s

tveganji za nerojenega otroka, in napotke o tem, kako prispevati k študiji zdravila iz obdobja po pridobitvi dovoljenja za promet in programu nadzora nosečnic.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki za varno in učinkovito uporabo tega zdravila so prav tako vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

## **Druge informacije o zdravilu Vyndaqel**

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Vyndaqel, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 16. novembra 2011.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Vyndaqel je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Vyndaqel preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Vyndaqel je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 06-2016.