



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

# Vyndaqel

tafamidis

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Vyndaqel. Det förklarar hur kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

## Vad är Vyndaqel?

Vyndaqel är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen tafamidis. Det finns som kapslar (20 mg).

## Vad används Vyndaqel för?

Vyndaqel används för att fördröja nervskador som orsakas av transtyretinamyloidosis, en ärftlig sjukdom som innebär att fibrer som kallas amyloid ansamlas i vävnader runt om i kroppen, däribland runt nerverna. Vyndaqel ges till vuxna patienter i ett tidigt stadium av nervsjukdom (stadium 1).

Eftersom antalet patienter med transtyretinamyloidosis är litet betraktas sjukdomen som sällsynt. Den 28 augusti 2006 klassificerades Vyndaqel som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar).

Läkemedlet är receptbelagt.

## Hur används Vyndaqel?

Behandlingen ska inledas och övervakas av läkare som har kunskap om att behandla patienter med denna sjukdom. Den rekommenderade dosen är en kapsel en gång dagligen.



## Hur verkar Vyndaqel?

Hos patienter med transtyretinamyloidos är ett blodprotein kallat transtyretin bristfälligt och bryts sönder med lätthet. Det sönderbrutna proteinet bildar en fibrös substans, amyloid, som ansamlas i vävnader och organ runt om i kroppen, däribland runt nerverna vilket hindrar dessa från att fungera normalt.

Den aktiva substansen i Vyndaqel, tafamidis, är en transtyretinstabiliserare. Den binder till transtyretin, vilket hindrar det från att brytas sönder och på så sätt förhindrar att amyloid bildas, vilket fördröjer nervsjukdomens förlopp.

## Hur har Vyndaqels effekt undersökts?

Vyndaqel jämfördes med placebo (overksam behandling) hos 128 patienter med transtyretinamyloidos. Huvudeffektmåttet baserades på bedömningen av patienternas nervskada och livskvaliteten efter 18 månaders behandling.

## Vilken nytta har Vyndaqel visat vid studierna?

Vyndaqel var effektivare än placebo vid behandling av patienter med transtyretinamyloidos. Hos 45 procent av patienterna som fick Vyndaqel antingen förbättrades eller stabiliserades nervfunktionen, jämfört med hos 30 procent av patienterna som fick placebo. Resultaten innefattar inte patienter med en svårare form av sjukdomen som lämnade studien tidigt då de behövde genomgå levertransplantation.

## Vilka är riskerna med Vyndaqel?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Vyndaqel (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är urinvägsinfektion, slidinfektion, buksmärta (magont) och diarré. En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Vyndaqel finns i bipacksedeln.

## Varför har Vyndaqel godkänts?

CHMP noterade att Vyndaqel var effektivare än placebo när det gällde att fördröja nervskada hos patienter med transtyretinamyloidos, förutom hos patienter som lämnade studien då de behövde en levertransplantation. Läkemedlet gav inte upphov till några större säkerhetsmässiga betänkligheter och riskerna ansågs hanterliga. CHMP fann därför att nyttan med Vyndaqel är större än riskerna och rekommenderade att Vyndaqel skulle godkännas för försäljning.

Vyndaqel har godkänts i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall". Det innebär att det av vetenskapliga skäl inte har varit möjligt att få fullständig information om Vyndaqel eftersom transtyretinamyloidos är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska all ny information som kan bli tillgänglig varje år och uppdatera denna sammanfattning om det blir nödvändigt.

## Vilken information om Vyndaqel saknas för närvarande?

Företaget som tillverkar Vyndaqel kommer att göra en studie av läkemedlets effekt i en undergrupp av patienter med vissa genetiska mutationer. Företaget kommer också att lägga fram långsiktiga säkerhetsdata efter godkännandet för försäljning.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Vyndaqel?

Företaget som marknadsför Vyndaqel kommer att förse alla läkare som förväntas förskriva Vyndaqel med utbildningsmaterial. Materialet kommer att bestå av en broschyr med information om riskerna med läkemedlet, däribland riskerna för foster, och om hur man bidrar till en studie efter godkännande för försäljning och ett övervakningsprogram för gravida kvinnor.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Vyndaqel har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

## Mer information om Vyndaqel

Den 16 november 2011 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Vyndaqel som gäller i hela EU.

Det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Mer information om behandling med Vyndaqel finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Vyndaqel från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2016.