

EMA/381704/2018
EMA/H/C/004782

Tegsedi (*inoterseen*)

Ülevaade ravimist Tegsedi ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Tegsedi ja milleks seda kasutatakse?

Tegsedi on transtüretiiniga seotud pärilikust amüloidoosist (hATTR) tingitud närvikahjustuse raviks kasutatav ravim. hATTR on haigus, mille korral tekib amüloidiks nimetatud valkude kuhjumine kogu organismi kudedesse, sealhulgas närvide ümber.

Tegsedit kasutatakse täiskasvanud patsientidel, kellel on närvikahjustuse kaks esimest staadiumi (1. staadium: patsient on võimeline abita kõndima; 2. staadium: patsient on võimeline kõndima, kuid vajab abi).

HATTR esineb harva ja Tegsedi nimetati 26. märtsil 2014 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kuidas Tegsedit kasutatakse?

Tegsedi on retseptiravim. Ravi tohib alustada ja jälgida hATTR-iga patsientide ravis kogenud arst.

Ravimit turustatakse eeltäidetud süstaldes (284 mg) nahaaluse süstelahusena. Soovitav annus on üks süste üks kord nädalas, manustatuna kõhu, reie ülaosa või õlavarre naha alla. Esimene süste peab toimuma kvalifitseeritud meditsiinipersonali järelevalve all. Pärast asjakohast väljaõpet võivad patsiendid või nende hooldajad järgmised süstid teha ise.

Et Tegsedi võib põhjustada vereliistakute (trombotsüütide) arvu vähenemist (tekitades verejooksuriski), peab Tegsedi-ravi ajal jälgima vere trombotsüüdisaldust ning sellest lähtuvalt peab kohandama ravimi annust ja manustamissagedust.

Lisateavet Tegsedi kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.

Kuidas Tegsedi toimib?

HATTR-iga patsientidel on defektne veres ringlev valk nimega transtüretiin, mis laguneb kergesti. Lagunenud valgust tekivad amüloidiladestused kehas olevatesse kõigisse kudedesse ja organitesse, sealhulgas närvide ümber, kus see häirib närvide normaalset funktsiooni.

Tegsedi toimeaine inoterseen on antisenss-oligonukleotiid – väga lühike sünteetiline geenimaterjal, mis on välja töötatud seonduma transtüretiini tootmise eest vastutava raku geeniga ja seda blokeerima. Nii väheneb transtüretiini tootmine, vähendades amüloidi moodustumist ja leevendades hATTR-amüloidoosi sümptomeid.

Milles seisneb uuringute põhjal Tegsedi kasulikkus?

Ühes põhiuuringus, kus osales 173 hATTR-iga patsienti (kellel oli närvikahjustuse 1. või 2. staadium), oli Tegsedi haigusest tingitud närvikahjustuse aeglustamisel efektiivsem kui platseebo (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitajad olid muutused patsiendi närvikahjustuses ja elukvaliteedis, mõõdetuna vastavatel standardskaaladel mNIS+7 ja Norfolk QoL-DN. 15kuulise ravi järel oli närvikahjustuse hindamiseks kasutatava mNIS+7 skoori tulemus Tegsedi rühmas halvenenud vähem (ligikaudu 11 punkti) kui platseeborühmas (ligikaudu 25 punkti). Norfolk QoL-DN skooriga mõõdetav elukvaliteet oli Tegsedi rühmas vähenenud ligikaudu 4 punkti ja platseeborühmas ligikaudu 13 punkti.

Mis riskid Tegsediga kaasnevad?

Tegsedi kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on süstekoha reaktsioonid, iiveldus, punavereliblede sisalduse vähenemine, peavalu, palavik, perifeersed tursed (paistetud, eriti hüppeliigestel ja labajalgadel), külmavärinad, oksendamine ning veritsusi ja verevalumeid põhjustada võiv vereliistakute väike sisaldus. Tegsedi kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Tegsedit ei tohi kasutada vereliistakute väikese sisaldusega (vähem kui $100 \times 10^9/l$) ega raskete neeru- või maksaprobleemidega patsiendid. Piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

ELis Tegsedile väljastatud müügiloa põhjendus

Tegsedi korral on tõendatud efektiivsus 1. või 2. staadiumi närvikahjustusega hATTR-iga patsientide ravis. Olemasolevad andmed ei ole piisavad kasuliku toime eeldamiseks 3. staadiumi närvikahjustusega (ratastooli jäänud) patsientidel. Arvestades täitmata ravivajadust, peeti Tegsedi ohutusprofiili aktsepteeritavaks ja riske spetsiifilise jälgimise, annuse vähendamise ja ravi peatamise reeglite kaudu käsitletavaiks.

Euroopa Raviamet otsustas, et Tegsedi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja lubati ravimi kasutamine ELis.

Mis meetmed võetakse, et tagada Tegsedi ohutu ja efektiivne kasutamine?

Tegsedit turustav ettevõtte edastab patsientidele ohutuskaardi ravimi ohutuse ja kõrvaltoimete käsitlemisega seotud infoga.

Tegsedi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ka ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Tegsedi kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Tegsedi kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Tegsedi kohta

Lisateave Tegsedi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.