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

Tegsedi (*inoterseeni*)

Yleistiedot Tegsedistä sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Tegsedi on ja mihin sitä käytetään?

Tegsedi on lääke, jolla hoidetaan perinnöllisen transtyretiinivälitteisen amyloidoosin (hATTR) aiheuttamia hermovaurioita. Kyseessä on sairaus, jossa kehon eri kudoksiin, myös hermojen ympärille, kertyy amyloideiksi kutsuttuja proteiineja.

Tegsediä käytetään aikuispotilailla hermovaurioiden kahden ensimmäisen vaiheen hoidossa (vaiheen 1 potilaat pystyvät kävelemään ilman apua ja vaiheen 2 potilaat voivat yhä kävellä mutta tarvitsevat apua).

hATTR:n harvinaisuuden vuoksi Tegsedi nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 26. maaliskuuta 2014. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Miten Tegsediä käytetään?

Tegsediä saa ainoastaan lääkemääräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta hATTR-sairauden hoitamisesta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa.

Lääkettä on saatavana ihon alle injektoitavana liuoksena esitäytetyissä ruiskuissa (284 mg). Suositettu annos on yksi injektio kerran viikossa vatsan, reiden yläosan tai olkavarren ihon alle pistettynä. Ensimmäinen injektio on annettava asianmukaisesti koulutetun terveydenhuollon ammattilaisen valvonnassa. Potilas tai huoltaja voi pistää seuraavat injektiot saatuaan asianmukaisen ohjeistuksen.

Koska Tegsedi saattaa vähentää veren trombosyyttien määrää (ja aiheuttaa verenvuotoriskin), niiden määrää seurataan Tegsedi-hoidon aikana ja lääkkeen annostusta ja antamistiheyttä säädetään vastaavasti.

Lisää tietoa Tegsedin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

30 Churchill Place ● Canary Wharf ● London E14 5EU ● United Kingdom
Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555
Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2018. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Miten Tegsedi vaikuttaa?

Transtyretiinivälitteistä amyloidoosia sairastavilla potilailla veren transtyretiini-niminen proteiini on puutteellinen ja hajoaa helposti. Hajonnut proteiini muodostaa amyloidikertymiä kudoksiin ja elimiin eri puolille kehoa, myös hermojen ympärille, missä se häiritsee niiden normaalia toimintaa.

Tegsedin vaikuttava aine inoterseeni on antisense-oligonukleotidi. Se on hyvin lyhyt pala keinotekoisesti valmistettua geneettistä materiaalia, jonka tarkoituksena on sitoutua transtyretiiniä tuottavan solun geneettiseen materiaaliin ja estää sen toiminta. Tämä alentaa transtyretiinin tuotantoa ja vähentää siten amyloidikertymien muodostumista ja helpottaa transtyretiinivälitteisen amyloidoosin oireita.

Mitä hyötyä Tegsedistä on havaittu tutkimuksissa?

Yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 173 hATTR-potilasta, joilla oli vaiheiden 1 ja 2 hermovaurioita, Tegsedin osoitettiin hidastavan sairauden aiheuttamien hermovaurioiden kehittymistä lumelääkettä tehokkaammin. Tehon pääasiallisina mittoina olivat muutokset potilaiden hermovaurioissa ja elämänlaadussa mNIS+7- ja Norfolk QoL-DN -nimisiä vakioasteikkoja käyttäen. Kun hoito oli kestänyt 15 kuukautta, Tegsediä saaneiden potilaiden hermovaurioiden arvioinnissa käytetyt mNIS+7-pisteet heikkenivät vähemmän (noin 11 pistettä) kuin lumelääkettä saaneiden potilaiden pisteet (noin 25 pistettä). Elämänlaatua mittaavat Norfolk QoL-DN -pisteet alenivat Tegsediä saaneilla potilailla noin neljä pistettä, kun taas lumelääkettä saaneilla ne alenivat noin 13 pistettä.

Mitä riskejä Tegsediin liittyy?

Tegsedin yleisimmät sivuvaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 1 potilaalle 10:stä) ovat injektiokohdan reaktiot, pahoinvointi (huono olo), punaisten verisolujen vähäinen määrä, päänsärky, kuume, perifeerinen edeema (erityisesti nilkkojen ja jalkojen turvotus), vilunväristykset, oksentelu ja alhainen verihiutaleiden määrä, mikä voi aiheuttaa verenvuotoa ja mustelmia. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Tegsedin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Tegsedi ei sovi potilaille, joiden trombosyyttiarvot ovat alhaiset (alle 100×10^9/l) tai joilla on vakavia munuais- tai maksaongelmia. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Tegsedi on hyväksytty EU:ssa?

Tegsedi osoittautui tehokkaaksi hATTR-potilaiden vaiheen 1 tai 2 hermovaurioiden hoidossa; käytettävät tiedot eivät olleet riittävät oletukselle hyödyllisestä vaikutuksesta vaiheen 3 potilailla (pyörätuolissa). Lääketieteellisen hoidon tarve huomioon ottaen Tegsedin turvallisuusprofiilia pidettiin hyväksyttävänä ja riskejä hallittavina, kun noudatetaan seurantaa, annoksen pienentämistä ja hoidon lopettamista koskevia erityissääntöjä.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Tegsedin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Tegsedin turvallinen ja tehokas käyttö?

Tegsediä markkinoiva yhtiö toimittaa potilaille potilaskortin, joka sisältää tietoa lääkkeen turvallisuudesta ja sivuvaikutusten hallinnasta.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Tegsedin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Tegsedin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Tegsedin ilmoitetut sivuvaikutukset arvioidaan huolellisesti ja potilaiden suojelemiseksi suoritetaan kaikki tarvittavat toimet.

Muita tietoja Tegsedistä

Lisää tietoa Tegsedistä on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.