



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/258552/2025
EMA/H/C/006477

Tryngolza (*oletsarseeni*)

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

Mitä Tryngolza on ja mihin sitä käytetään?

Tryngolza on lääke, jota käytetään ruokavalioon yhdistettynä aikuisille, joilla on familiaalinen kylomikronemia (FCS). Se on perinnöllinen sairaus, joka nostaa triglyserideiksi kutsuttujen rasva-aineiden pitoisuuden veressä korkeaksi. Liiallinen rasva kertyy eri puolille kehoa ja saa aikaan oireita, kuten vatsakipua, ihonalaisia rasvakertymiä ja haimatulehdusta. Tryngolzaa käytetään geenitestauksella varmistetun familiaalisen kylomikronemian hoitoon.

Familiaalinen kylomikronemia on harvinainen sairaus, ja Tryngolza nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 21. elokuuta 2024. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Tryngolzan vaikuttava aine on oletsarseeni.

Miten Tryngolzaa käytetään?

Tryngolzaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Sitä on saatavana injektionesteenä esitäytetyissä kynissä. Valmiste pistetään kerran kuukaudessa ihon alle vatsaan, reiden etuosaan tai olkavarren takaosaan. Potilaat tai heitä hoitavat henkilöt voivat injektoida Tryngolzaa itse saatuaan siihen opastuksen.

Lisätietoja Tryngolzan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Tryngolza vaikuttaa?

Tryngolzan vaikuttava aine oletsarseeni on antisense-oligonukleotidi, joka on hyvin lyhyt pätkä synteettistä (keinotekoista) RNA:ta (erääntyyppistä geneettistä materiaalia). Se on suunniteltu estämään apolipoproteiini C3:n (apoC-III) tuotanto. Apolipoproteiini hidastaa rasvojen hajoamista. Estämällä tämän proteiinin tuotannon lääke vähentää veren triglyseridipitoisuutta ja näin ollen rasvan kertymistä elimistöön.

Mitä hyötyä Tryngolzasta on havaittu tutkimuksissa?

Yhdessä päätutkimuksessa Tryngolzan osoitettiin pienentävän tehokkaasti veren triglyseridipitoisuutta. Tutkimukseen osallistui 66 familiaalista kylomikronemiaa sairastavaa aikuista. Kaikki tutkimukseen

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



osallistuneet potilaat noudattavat heille määrättyä ja valvottua ruokavaliota Tryngolzan tai lumelääkkeen lisäksi.

Tryngolzaa saaneilla potilailla veren triglyseridipitoisuus pieneni keskimäärin 32 prosenttia kuuden kuukauden hoidon jälkeen. Lumelääkettä saaneilla potilailla veren triglyseridipitoisuus kasvoi samassa ajassa keskimäärin 12 prosenttia. Tämä vaikutus säilyi ja parani vuoden kestäneen hoidon jälkeen. Tutkimus osoitti myös, että akuuttien haimatulehdusten lukumäärä Tryngolzaa saaneilla potilailla oli paljon pienempi kuin lumelääkettä saaneilla.

Mitä riskejä Tryngolzaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Tryngolzan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Tryngolzan yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat injeksiokohdan eryteema (ihon punoitus), päänsärky, nivelkipu ja oksentelu.

Miksi Tryngolza on hyväksytty EU:ssa?

Tryngolzan osoitettiin pienentävän veren triglyseridipitoisuutta ja akuutin haimatulehduksen riskiä familiaalista kylomikronemiaa sairastavilla potilailla. Lääkkeen turvallisuutta pidettiin hyväksyttävänä erityisesti siksi, että Tryngolza ei näytä vaikuttavan verihiutaleiden (veren hyytymistä edistäviä osatekijöitä) pitoisuuksiin veressä. Myös valmisteen kuukausittaisesta annostusohjelmasta ja lisääntyneestä turvallisuudesta katsottiin olevan hyötyä familiaalista kylomikronemiaa sairastaville potilaille. Siksi Euroopan lääkevirasto katsoi, että Tryngolzan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Tryngolzan turvallinen ja tehokas käyttö?

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

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

Muita tietoja Tryngolzasta

Lisätietoja Tryngolzasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/tryngolza.