

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

Tegsedi (*inotersen*)

Pregled informacija o lijeku Tegsedi i zašto je odobren u EU-u

Što je Tegsedi i za što se koristi?

Tegsedi je lijek koji se primjenjuje za liječenje oštećenja živaca koja su uzrokovana nasljednom transtiretinskom amiloidozom (hATTR), bolešću pri kojoj se proteini naziva amiloidi nakupljaju u tkivu u tijelu, uključujući i oko živaca.

Lijek Tegsedi primjenjuje se u odraslih bolesnika u prvim dvama stadijima oštećenja živaca (1. stadij, kada bolesnik može hodati bez pomoći i 2. stadij, kada bolesnik može hodati, ali mu je potrebna pomoć).

Nasljedna transtiretinska amiloidoza je rijetka bolest, a Tegsedi je dobio status „lijeka za liječenje rijetkih bolesti“ od 26. ožujka 2014. Više informacija o statusu lijeka za liječenje rijetkih bolesti možete naći ovdje: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Kako se Tegsedi koristi?

Lijek Tegsedi izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s nasljednom transtiretinskom amiloidozom.

Lijek je dostupan u obliku otopine koja se ubrizgava pod kožu, u napunjениm štrcaljkama (284 mg). Preporučena doza je jedna injekcija jedanput tjedno koja se daje pod kožu abdomena, natkoljenice ili nadlaktice. Prvu injekciju treba dati pod nadzorom osposobljenog zdravstvenog radnika, a sljedeće injekcije mogu davati bolesnici ili njegovatelji nakon što prođu odgovarajuću obuku.

Budući da Tegsedi može prouzročiti smanjenje broja trombocita u krvi (predstavlja rizik od krvarenja) potrebno je kontrolirati broj trombocita u krvi tijekom liječenja lijekom Tegsedi, te sukladno tome prilagoditi dozu lijeka i učestalost primjene.

Za više informacija o primjeni lijeka Tegsedi pogledajte uputu o lijeku ili se obratite liječniku ili ljekarniku.



Kako djeluje Tegsedi?

U bolesnika s nasljednom transtiretinskom amiloidozom, protein naziva transtiretin koji cirkulira u krvi oštećen je i lako se raspada. Raspadnuti protein stvara nakupine amiloida u tkivu i organima u tijelu, uključujući i oko živaca, i ometa njihove normalne funkcije.

Djelatna tvar u lijeku Tegsedi, inotersen, je antisens oligonukleotid, vrlo kratak sintetički genski materijal koji je namijenjen za vezivanje na genski materijal stanica odgovornih za stvaranje transtiretina, i njegovo blokiranje. To dovodi do smanjenog stvaranja transtiretina, čime se smanjuje nastajanje amiloida i ublažavaju simptomi nasljedne transtiretinske amilidoze.

Koje su koristi lijeka Tegsedi dokazane u ispitivanjima?

U jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 173 bolesnika s nasljednom transtiretinskom amiloidozom koji su imali 1. stadij ili 2. stadij oštećenja živaca lijek Tegsedi pokazao se djelotvornijim od placebo (prividno liječenje) u usporavanju oštećenja živaca koja ta bolest uzrokuje. Glavna mjerila djelotvornosti bila su promjene u oštećenju živaca i u kvaliteti života bolesnika, mjerene s pomoću standardnih ljestvica naziva „mNIS+7“, odnosno „Norfolk QoL-DN“. Nakon 15 mjeseci liječenja, rezultati prema ljestvici mNIS+7 koja se upotrebljavala za procjenu oštećenja živaca, pogoršali su se u manjoj mjeri pri primjeni lijeka Tegsedi (otprilike 11 bodova) u odnosu na placebo (otprilike 25 bodova). Kvaliteta života, mjerena rezultatima na ljestvici Norfolk QoL-DN, pogoršala se za otprilike četiri boda u bolesnika liječenih lijekom Tegsedi, u usporedbi s otprilike 13 bodova u bolesnika koji su primali placebo.

Koji su rizici povezani s lijekom Tegsedi?

Najčešće nuspojave lijeka Tegsedi (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) su reakcije na mjestu injekcije, mučnina (osjećaj slabosti), niska razina crvenih krvnih stanica, glavobolja, vrućica, periferni edem (oticanje, osobito zglobova i stopala), zimica, povraćanje i nizak broj trombocita u krvi koji može dovesti do krvarenja i pojave modrica. Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Tegsedi potražite u uputi o lijeku.

Lijek Tegsedi ne smije se primjenjivati u bolesnika s niskim brojem trombocita (manje od $100 \times 10^9/l$) ni u bolesnika koji imaju teška oštećenja bubrega ili jetre. Potpuni popis ograničenja vezanih uz primjenu potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Tegsedi odobren u EU-u?

Lijek Tegsedi pokazao se djelotvornim u liječenju bolesnika s nasljednom transtiretinskom amiloidozom koji imaju 1. stadij ili 2. stadij oštećenja živaca; dostupni podaci nisu dostačni da bi se prepostavio povoljan učinak u bolesnika u 3. stadiju (koji su vezani za invalidska kolica). Uzimajući u obzir i neudovoljenu medicinsku potrebu, sigurnosni profil lijeka Tegsedi smatra se prihvatljivim, a rizicima se može upravljati uz poseban nadzor, smanjenje doza i pravila za prekid liječenja.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Tegsedi nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u Europskoj uniji.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Tegsedi?

Tvrta koja stavlja lijek Tegsedi u promet osigurat će karticu s upozorenjima za bolesnike s informacijama o sigurnosti lijeka i kontroli nuspojava.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Tegsedi nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao za sve lijekove, podaci o primjeni lijeka Tegsedi kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Tegsedi pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Tegsedi

Više informacija o lijeku Tegsedi možete naći na internetskim stranicama

Agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.