

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

Tegsedi (*inoterszen*)

A Tegsedi nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Tegsedi és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Tegsedi-t az örökletes transztiretin amiloidózis (hATTR) által okozott idegkárosodás kezelésére alkalmazzák. Ennél a betegségnél amiloidoknak nevezett fehérjék halmozódnak fel a test különféle szöveteiben, többek között az idegek körül is.

A Tegsedi-t felnőtt betegeknél, az idegkárosodás első két stádiumában alkalmazzák (az 1. stádiumban a beteg képes segítség nélkül járni, a 2. stádiumban a beteg még tud járni, de ehhez segítségre van szüksége).

Mivel a hATTR „ritkának” minősül, ezért a Tegsedi-t 2014. március 26-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Hogyan kell alkalmazni a Tegsedi-t?

A Tegsedi csak receptre kapható, és a kezelést a hATTR-ben szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A gyógyszer bőr alá adandó oldatos injekcióként kapható előretöltött fecskendőben (284 mg). Az ajánlott adag hetente egy injekció, amelyet a bőr alá kell beadni a hason, a comb felső részén vagy a felkaron. Az első injekciót képzett egészségügyi szakember felügyelete mellett kell beadni, a további injekciókat pedig megfelelő betanítást követően a beteg vagy gondozója is beadhatja.

Mivel a Tegsedi lecsökkentheti a vérlemezkek számát (a vérzés kockázatát okozva), a Tegsedi-vel végzett kezelés során ellenőrizni kell a vérlemezkeszámot, és ennek megfelelően ki kell igazítani a gyógyszer adagját és alkalmazásának gyakoriságát.

További információért a Tegsedi alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.



Hogyan fejti ki hatását a Tegsedi?

A hATTR-ben szenvedő betegeknél a vérben keringő transtiretin nevű fehérje hibás és könnyen törik. A törött fehérje a szervezetben amiloid-lerakódásokat képez a szövetekben és a szervekben, többek között az idegek körül is, és akadályozza azok normál működését.

A Tegsedi hatóanyaga, az inoterszen „antiszensz oligonukleotid”, azaz olyan nagyon rövid szintetikus genetikai anyag, amelyet arra terveztek, hogy a transtiretin termeléséért felelős sejt genetikai anyagához kössön és azt blokkolja. Ez csökkenti a transtiretin termelését, ezáltal csökkentve az amiloidok képződését és enyhítve a hATTR amiloidózis tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Tegsedi alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy, 173 hATTR-ben szenvedő, 1. vagy 2. stádiumú idegkárosodással élő betegre kiterjedő fő vizsgálatban kimutatták, hogy a Tegsedi a betegség okozta idegkárosodás lassításában hatékonyabb, mint a placebo (hatóanyag nélküli kezelés). A fő hatékonysági mutatók a betegek idegkárosodásában, illetve életminőségében bekövetkezett változások voltak, melyeket az „mNIS+7”, illetve a „Norfolk QoL-DN” standard skálákkal mérték. 15 havi kezelés után az idegkárosodás felmérésére szolgáló mNIS+7 pontszáma kisebb mértékben csökkent a Tegsedi alkalmazása esetén (kb. 11 ponttal), mint a placebo alkalmazásával (kb. 25 ponttal). A Norfolk QoL-DN pontszámával mért életminőség a Tegsedi-vel kezelt betegek esetében kb. 4 ponttal romlott, szemben a placebóval kezelt kb. 13 pontjával.

Milyen kockázatokkal jár a Tegsedi alkalmazása?

A Tegsedi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az injekció helyén fellépő reakciók, hányinger, a vörösvérsejtek alacsony szintje, fejfájás, láz, végtagödéma (különösen a boka és a lábfej dagadása), hidegrázás, hányás és alacsony vérlemezkeszám, ami vérzést és véraláfutást okozhat. A Tegsedi alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Tegsedi nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknek alacsony a vérlemezkeszáma (kevesebb mint $100 \times 10^9/l$), illetve súlyos vese- vagy májproblémákkal küzdő betegeknél. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Tegsedi forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Tegsedi-ről kimutatták, hogy hatékony a hATTR-ben szenvedő betegek 1. vagy 2. stádiumú idegkárosodásának kezelésében; a rendelkezésre álló adatok nem voltak elegendőek ahhoz, hogy feltételezzék jótékony hatását a 3. stádiumú (kerekesszékre kényszerült) betegek esetében. A kielégítetlen gyógyászati igényre való tekintettel elfogadhatónak találták a Tegsedi biztonságossági profilját, a kockázatokat pedig kezelhetőnek ítélték célirányos felügyelet, az adag csökkentése és a leállítási szabályok mellett.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Tegsedi alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Tegsedi biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Tegsedi-t forgalmazó vállalat a betegek részére figyelmeztető kártyát biztosít a gyógyszer biztonságosságára és a mellékhatások kezelésére vonatkozó információkkal.

A Tegsedi biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Tegsedi alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Tegsedi alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Tegsedi-vel kapcsolatos egyéb információ

További információ a Tegsedi gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).