



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tryngolza (*olezarsen*)

A Tryngolza-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Tryngolza és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Tryngolza olyan gyógyszer, amelyet diéta mellett alkalmaznak familiáris chylomikronémia szindrómában (FCS) szenvedő felnőttek kezelésére. Ez egy genetikai betegség, amely a vérben a triglicerideknek nevezett zsírok magas szintjét okozza. A test különböző részeiben felhalmozódik a többletzsír, ami olyan tünetek kialakulásához vezet, mint a hasi fájdalom, a bőralatti zsírlerakódás és a hasnyálmirigy-gyulladás. A Tryngolza-t a genetikai vizsgálattal igazolt FCS kezelésére alkalmazzák.

Mivel az FCS „ritkának” minősül, ezért a Tryngolza-t 2024. augusztus 21-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Tryngolza hatóanyaga az olezarsen.

Hogyan kell alkalmazni a Tryngolza-t?

A Tryngolza csak receptre kapható, és oldatos injekció formájában, előretöltött injekciós tollban kerül forgalomba. Havonta egyszer a hasba, a comb elülső részébe vagy a felkar hátsó részébe kell befecskendezni a bőr alá. A betegek vagy gondozóik a betanítást követően maguk is beadhatják a Tryngolza-t.

A Tryngolza alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Tryngolza?

A Tryngolza hatóanyaga, az olezarsen „antiszensz oligonukleotid”, egy nagyon rövid szintetikus (mesterséges) RNS (a genetikai anyag egy típusa). Úgy alakították ki, hogy gátolja az apolipoprotein C-III (apoC-III) nevű fehérje termelődését, amely lassítja a zsírok lebomlását. E fehérje előállításának gátlásával a gyógyszer csökkenti a vérben található trigliceridek szintjét, és ennek eredményeként a zsír felhalmozódását a szervezetben.

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



Milyen előnyei voltak a Tryngolza alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Tryngolza hatásosnak bizonyult a vér triglicerid-szintjének csökkentésében egy fő vizsgálatban, amelyben 66, FCS-ben szenvedő felnőtt vett részt. A vizsgálatban részt vevő valamennyi beteg szabályozott étrendet követett a Tryngolza-val vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) végzett kezelés mellett.

6 hónapos kezelést követően a Tryngolza-val kezelt betegeknek a trigliceridek vérszintje átlagosan 32%-kal csökkent, szemben a placebót kapó betegeknek tapasztalt 12%-os átlagos növekedéssel. Ez a hatás egy év kezelés után is fennmaradt és javult; a vizsgálat azt is kimutatta, hogy sokkal kevesebb esetben fordult elő akut hasnyálmirigy-gyulladás a Tryngolza-val kezelt betegeknek, mint azoknak, akik placebót kaptak.

Milyen kockázatokkal jár a Tryngolza alkalmazása?

A Tryngolza alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Tryngolza leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az injekció beadásának helyén kialakuló bőrpír, a fejfájás, az ízületi fájdalom és a hányás.

Miért engedélyezték a Tryngolza forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az FCS-ben szenvedő betegeknek a Tryngolza csökkentette a trigliceridek vérszintjét, és mérsékelte az akut hasnyálmirigy-gyulladás kockázatát. A gyógyszer biztonságosságát elfogadhatónak tartották, különös tekintettel arra a tényre, hogy úgy tűnik, hogy a Tryngolza nem befolyásolja a véralvadást elősegítő összetevők) vérszintjét. A gyógyszer havi adagolási rendjét és a fokozott biztonságosságot szintén előnyösnek tartották az FCS-ben szenvedő betegek számára. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Tryngolza alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

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

A Tryngolza alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Tryngolza alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Tryngolza-val kapcsolatos egyéb információ

A Tryngolza-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/tryngolza.