

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

Tegsedi (*inotersenas*)

Tegsedi apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Tegsedi ir kam jis vartojamas?

Tegsedi – tai vaistas, kuriuo gydomi nervų pažeidimai, kuriuos sukelia paveldėtoji transtiretino amiloidozė (pTA) – liga, kuria sergant baltymai, vadinami amiloidais, kaupiasi viso kūno audiniuose, įskaitant apie nervus esančius audinius.

Tegsedi skiriamas suaugusiems pacientams esant pirmoms dviem nervų pažeidimo stadijoms (1 stadija – kai pacientas gali vaikščioti be pagalbinių priemonių ir 2 stadija – kai pacientas vis dar gali paeiti, bet jam reikalinga pagalba).

pTA laikoma reta, todėl 2014 m. kovo 26 d. Tegsedi buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kaip vartoti Tegsedi?

Tegsedi galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turėtų pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis pTA sergančių pacientų gydymo patirties.

Vaistas tiekiamas užpildytuose švirkštuose (284 mg), po oda švirkščiamo tirpalo forma. Rekomenduojama dozė yra viena injekcija kartą per savaitę; vaistas švirkščiamas po pilvo, šlaunies arba žasto oda. Pirmą injekciją turėtų būti atlikta prižiūrint kvalifikuotam sveikatos priežiūros specialistui, o paskesnes injekcijas gali atlikti patys pacientai arba juos slaugantys asmenys, išmokyti tinkamai atlikti šią procedūrą.

Kadangi Tegsedi gali sukelti trombocitų skaičiaus sumažėjimą kraujyje (tai kelia kraujavimo riziką), gydymo šiuo vaistu laikotarpiu reikia stebėti trombocitų skaičių kraujyje ir atitinkamai koreguoti vaisto dozę bei injekcijų dažnumą.

Daugiau informacijos apie Tegsedi vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Tegsedi?

pTA sergančių pacientų kraujyje cirkuliuojantis baltymas, vadinamas transtiretinu, yra pakitęs ir lengvai skyla. Suskilus baltymui, visame kūne audiniuose ir organuose, įskaitant apie nervus esančius audinius, nusėda amiloidai, kurie sutrikdo normalią jų veiklą.

Veiklioji Tegsedi medžiaga inotersenas yra vadinamasis priešprasmis oligonukleotidas – labai trumpa sintetinės genetinės medžiagos dalis, kuri sumodeliuota taip, kad jungtųsi prie ląstelės, kuri yra atsakinga už transtiretino gamybą, genetinės medžiagos ir ją slopintų. Dėl tokio poveikio žmogaus organizme pagaminama mažiau transtiretino, todėl susidaro mažiau amiloidų ir palengvėja pTA simptomai.

Kokia Tegsedi nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 173 pTA sergantys pacientai, kuriems buvo diagnozuotas 1 arba 2 stadijos nervų pažeidimas, nustatyta, kad Tegsedi yra veiksmingesnis už placebo (netikrą vaistą) siekiant sulėtinti šios ligos sukeliama nervų pažeidimo progresavimą. Pagrindiniai veiksmingumo rodikliai buvo pacientų nervų pažeidimo ir gyvenimo kokybės pokyčiai, kurie buvo vertinami pagal standartines skales, vadinamas mNIS+7 ir Norfolk QoL-DN. Praėjus 15 gydymo mėnesių, nustatyta, kad vartojant Tegsedi, nervų pažeidimo vertinimas pagal mNIS+7 pablogėjo mažiau (maždaug 11 balų), nei vartojant placebo (maždaug 25 balais). Tegsedi gydytų pacientų gyvenimo kokybės vertinimas pagal Norfolk QoL-DN skalę pablogėjo maždaug 4 balais, o vartojusių placebo – maždaug 13 balų.

Kokia rizika susijusi su Tegsedi vartojimu?

Dažniausias Tegsedi šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra reakcijos injekcijos vietoje, pykinimas (šleikštulys), sumažėjęs raudonųjų kraujo ląstelių skaičius, galvos skausmas, karščiavimas, periferinė edema (patinimas, ypač kulkšnių ir pėdų), šaltkrėtis, vėmimas ir sumažėjęs trombocitų skaičius kraujyje, dėl kurio pacientas gali kraujuoti ir jam gali formuotis kraujosrūvos. Išsamų visų Tegsedi šalutinio poveikio reiškinių sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Tegsedi negalima vartoti pacientams, kurių kraujyje sumažėjęs trombocitų skaičius (mažesnis nei $100 \times 10^9/l$), taip pat pacientams, turintiems sunkių inkstų arba kepenų veiklos sutrikimų. Išsamų visų apribojimų sąrašą rasite pakuotės lapelyje.

Kodėl Tegsedi buvo registruotas ES?

Tyrimais įrodyta, kad Tegsedi yra veiksmingas gydant pTA sergančių pacientų 1 arba 2 stadijos nervų pažeidimus; tyrimų duomenų nepakako, kad būtų galima padaryti prielaidą, jog šis vaistas būtų naudingas 3 stadijos nervų pažeidimų turintiems pacientams (prikaustytiems prie neįgaliojo vežimėlio). Atsižvelgiant į nepatenkintą medicininį poreikį, laikytasi nuomonės, kad Tegsedi saugumo charakteristikos yra priimtinos, o šio vaisto keliamą riziką galima kontroliuoti nustačius konkrečias stebėjimo, dozės mažinimo ir gydymo nutraukimo taisykles.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Tegsedi nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Tegsedi vartojimą?

Tegsedi prekiaujanti bendrovė parengs pacientams skirtą įspėjamąją kortelę, kurioje bus pateikta informacija apie šio vaisto saugumą ir apie tai, kaip kontroliuoti šalutinį poveikį.

I preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Tegsedi vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Tegsedi vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Tegsedi šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Tegsedi

Daugiau informacijos apie Tegsedi rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.