



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tegsedi (*inotersens*)

Tegsedi pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Tegsedi* un kāpēc tās lieto?

Tegsedi ir zāles, ko lieto, lai ārstētu nervu bojājumus, ko izraisa pārmantota transtiretīna amiloidoze (*hATTR*) – iedzimta slimība, kuras gadījumā par amiloīdiem dēvētas olbaltumvielas uzkrājas organisma audos, tostarp ap nerviem.

Tegsedi lieto pieaugušiem pacientiem pirmajās divās nervu bojājumu stadijās (1. stadija, kad pacients spēj staigāt bez palīdzības, un 2. stadija, kad pacients vēl spēj staigāt, bet viņam nepieciešama palīdzība).

hATTR ir "reta", un 2014. gada 26. martā *Tegsedi* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kā lieto *Tegsedi*?

Tegsedi var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga *hATTR* ārstēšanā pieredzējušam ārstam.

Šīs zāles ir pieejamas kā šķīdums injekcijām zem ādas pilnšļircē (284 mg). Ieteicamā deva ir viena injekcija vienreiz nedēļā, ievadot zem vēdera, augšstilba vai augšdelma ādas. Pirmā injekcija jāievada kvalificēta veselības aprūpes speciālista uzraudzībā, un pēc atbilstošas apmācības pacienti vai viņu aprūpētāji turpmākās injekcijas var ievadīt paši.

Tā kā *Tegsedi* var samazināt trombocītu skaitu asinīs (izraisot asiņošanas risku), *Tegsedi* terapijas laikā ir jāuzrauga trombocītu skaits asinīs un attiecīgi jāpielāgo šo zāļu deva un lietošanas biežums.

Papildu informāciju par *Tegsedi* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.



Kā Tegsedi darbojas?

Pacienti ar *hATTR* ir bojāta asinsritē cirkulējoša olbaltumviela, ko dēvē par transtiretīnu, un tā viegli sadalās. Sadalījušās olbaltumvielas veido amiloīdu nogulsnes ķermeņa audos un orgānos, tostarp ap nerviem, kur tās traucē normālai to darbībai.

Tegsedi aktīvā viela inotersens ir "antisensa oligonukleotīds", ļoti īsa daļiņa no sintētiska ģenētiskā materiāla, kas izstrādāta, lai piesaistītos pie šūnu ģenētiskā materiāla, kas atbild par transtiretīna sintēzi, un to bloķētu. Tas samazina transtiretīna ražošanu, tādējādi mazinot amiloīdu veidošanos un atvieglojot *hATTR* amiloidozes simptomus.

Kādi Tegsedi ieguvumi atklāti pētījumos?

Vienā pamatpētījumā, piedaloties 173 *hATTR* pacientiem ar 1. vai 2. stadijas nervu bojājumiem, tika pierādīts, ka *Tegsedi* efektīvāk nekā placebo (zāļu imitācija) palēnina slimības izraisīto nervu bojājumu veidošanos. Galvenie efektivitātes rādītāji bija pacientu nervu bojājumu un dzīves kvalitātes izmaiņas, ko mērija ar standarta skalām, attiecīgi mNIS+7 skalu un Norfolkas dzīves kvalitātes – diabētiskās neiropatijas (*QoL-DN*) skalu. Pēc 15 mēnešus ilgas ārstēšanas mNIS+7 rādītājs, ar kuru vērtē nervu bojājumu stāvokli, ar *Tegsedi* ārstētajiem pacientiem pasliktinājās mazākā mērā (par apmēram 11 punktiem) nekā pacientiem, kuri saņēma placebo (par apmēram 25 punktiem). Dzīves kvalitāte, ko mērija ar Norfolkas *QoL-DN* rādītāju, ar *Tegsedi* ārstētajiem pacientiem pasliktinājās par apmēram 4 punktiem, salīdzinot ar 13 punktiem placebo grupā.

Kāds risks pastāv, lietojot Tegsedi?

Visbiežākās *Tegsedi* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir reakcijas injekcijas vietā, slikta dūša (nelabums), zems sarkano asins šūnu skaits, galvassāpes, drudzis, perifērā tūska (pietūkums, īpaši potītēs un pēdās), drebuļi, vemšana un zems trombocītu skaits, kas var izraisīt asiņošanu un zilumus. Pilnu visu blakusparādību sarakstu, lietojot *Tegsedi*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Tegsedi nedrīkst lietot pacientiem ar zemu trombocītu skaitu (mazāk nekā $100 \times 10^9/l$) un pacientiem ar smagiem nieru vai aknu darbības traucējumiem. Pilnu ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc Tegsedi tika reģistrētas ES?

Tika pierādīta *Tegsedi* efektivitāte 1. vai 2. stadijas nervu bojājumu ārstēšanā *hATTR* pacientiem; pieejamie dati nebija pietiekami, lai varētu pieņemt, ka šīs zāles rada labvēlīgu ietekmi pacientiem ar 3. stadijas nervu bojājumiem (kad pacients ir piesaistīts ratiņkrēslam). Ņemot vērā neapmierināto medicīnisko vajadzību, *Tegsedi* tika uzskatītas par pieņemamām un to riski par kontrolējamiem, ja tiek ievēroti īpaši noteikumi par uzraudzību, devu samazināšanu un lietošanas pārtraukšanu.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Tegsedi*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu Tegsedi lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Tegsedi*, pacientiem nodrošinās brīdinājuma kartīti ar informāciju par zāļu drošumu un blakusparādību kontrolēšanu.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Tegsedī* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Tegsedī* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Tegsedī* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Tegsedī*

Sīkāka informācija par *Tegsedī* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.