

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

Tegsedi (*inotersen*)

Ħarsa ġenerali lejn Tegsedi u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Tegsedi u għal xiex jintuża?

Tegsedi huwa mediċina li tintuża biex tikkura l-ħsara fin-nervituri kkawżata minn amiljojdosi transtiretin ereditarja (hATTR, hereditary transthyretin amyloidosis), marda li fiha l-proteini msejġha amiljojdi jingemgħu fit-tessuti ta' madwar il-ġisem inkluż madwar in-nervituri.

Tegsedi jintuża f'pazjenti adulti fl-ewwel żewġ stadji tal-ħsara fin-nervituri (stadju 1, meta l-pazjent ikun jista' jimxi mingħajr għajnuna, u stadju 2, meta l-pazjent ikun għadu jista' jimxi iżda jeħtieġ l-għajnuna).

hATTR hija rari, u Tegsedi ġie denominat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fis-26 ta' Marzu 2014. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab hawn: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kif jintuża Tegsedi?

Tegsedi jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tkun sorveljata minn tabib b'esperjenza fil-kura ta' pazjenti b'hATTR.

Il-mediċina tiġi bħala soluzzjoni għal injezzjoni taħt il-ġilda f'siringi mimlijin għal-lest (284 mg). Id-doża rakkomandata hija injezzjoni waħda darba fil-ġimgħa, li tingħata taħt il-ġilda fiż-żaq, fil-parti ta' fuq tal-koxxa jew tad-driegħ. L-ewwel injezzjoni għandha tingħata taħt is-supervizjoni ta' professjonista fil-kura tas-saħħa kwalifikat, u l-pazjenti jew il-persuni li jieħdu ħsiebhom jistgħu jagħtu l-injezzjonijiet sussegwenti wara li jirċievu taħriġ xieraq.

Peress li Tegsedi jista' jikkawża tnaqqis fl-għadd ta' pjastrini fid-demm (li joħloq riskju ta' fsada), l-għadd ta' pjastrini fid-demm għandu jiġi mmonitorjati waqt il-kura b'Tegsedi, u d-doża tal-mediċina u kemm tingħata ta' spiss għandhom jiġu aġġustati kif xieraq.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Tegsedi, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.



Kif jaħdem Tegsedi?

F'pazjenti b'hATTR, proteina msejha transtiretin li tiċċirkola fid-demm hija difettuża u tinkiser faċilment. Il-proteina mkissra tiffirma depożiti amilojdi f'tessuti u organi madwar il-ġisem, inkluż madwar in-nervituri, fejn tinterferixxi mal-funzjonijiet normali tagħhom.

Is-sustanza attiva f'Tegsedi, l-inotersen, hija "antisens oligonukleotid", biċċa qasira ħafna ta' materjal ġenetiku sintetiku li ġiet iddisinjata biex teħel mal-materjal ġenetiku taċ-ċellula responsabbli mill-produzzjoni ta' transtiretin u timblokkah. Dan inaqqas il-produzzjoni ta' transtiretin, u b'hekk inaqqas il-formazzjoni ta' amilojdi u jtaffi s-sintomi ta' amilojdosi hATTR.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Tegsedi li ħarġu mill-istudji?

Fi studju ewlieni wieħed li involva 173 pazjent bl-hATTR bi ħsara fin-nervituri fl-istadju 1 jew 2, Tegsedi ntweraw li kien iktar effettiv mill-placebo (kura finta) biex inaqqas il-ħsara fin-nervituri kkawżata mill-marda. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kienu l-bidliet fil-ħsara fin-nervituri u fil-kwalità tal-ħajja tal-pazjenti, kif imkejla bl-użu ta' skali standard imsejha 'mNIS+7' u 'Norfolk QoL-DN' rispettivament. Wara 15-il xahar ta' kura, il-punteġġ mNIS+7, użat għall-valutazzjoni tal-ħsara fin-nervituri, mar inqas għall-aġħar b'Tegsedi (madwar 11-il punt) milli bi placebo (madwar 25 punt). Il-kwalità tal-ħajja, imkejla mill-punteġġ Norfolk QoL-DN, marret għall-aġħar b'madwar 4 punti fil-pazjenti kkurati b'Tegsedi, meta mqabbla ma' madwar 13-il punt f'dawk li kienu qed jieħdu placebo.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Tegsedi?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Tegsedi (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma reazzjonijiet fis-sit tal-injezzjoni, nawsja (thossok ma tifaħx), livell baxx ta' ċelloli tad-demm ħomor, uġiġħ ta' ras, deni, edema periferika (nefha, speċjalment tal-għekiesi u s-saqajn), bard, remettar u għadd baxx ta' pjastrini tad-demm li jistgħu jwasslu għal fsada u tbenġil. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji ta' Tegsedi, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Tegsedi ma għandux jintuża minn pazjenti b'għadd baxx ta' pjastrini (inqas minn $100 \times 10^9/l$), u minn pazjenti bi problemi serji fil-kliwi jew fil-fwied. Għal-lista sħiħa ta' restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Tegsedi ġie awtorizzat fl-EU?

Tegsedi ntweraw li huwa effettiv fil-kura tal-ħsara fin-nervituri fl-istadju 1 jew fl-istadju 2 f'pazjenti b'hATTR; id-data disponibbli ma kinitx biżżejjed biex wieħed jassumi effett ta' benefiċċju fil-pazjenti fl-istadju 3 (dawk li qegħdin f'siġġu tar-roti). Fid-dawl tal-ħtieġa medika mhux issodisfata, il-profil tas-sigurtà ta' Tegsedi tqies bħala aċċettabbli u r-riskji jistgħu jiġu mmanigġati b'regoli ta' monitoraġġ, ta' tnaqqis fid-doża u ta' twaqqif speċifiċi.

Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Tegsedi huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Tegsedi?

Il-kumpanija li tqiegħed Tegsedi fis-suq se tipprovdi kard ta' twissija lill-pazjenti b'informazzjoni dwar is-sigurtà tal-medicina u kif għandhom jiġu mmanigġati l-effetti sekondarji.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Tegsedi.

Bhal għall-mediċini kollha, id-data dwar l-użu ta' Tegsedi hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrappurtati b'Tegsedi huma evalwati bir-reqqa u tittiehed kull azzjoni meħtieġa għall-protezzjoni tal-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Tegsedi

Aktar informazzjoni dwar Tegsedi tista' tinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.