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

Tryngolza (*olezarsen*)

Ħarsa ġenerali lejn Tryngolza u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Tryngolza u għal xiex jintuża?

Tryngolza huwa mediċina li tintuża flimkien ma' dieta għat-trattament ta' adulti bis-sindrome tal-kilomikronemija familjali (FCS), kundizzjoni ġenetika li twassal għal livelli għoljin ta' xaħmijiet imsejħa trigliċeridi fid-demm. Ix-xaħam żejjed jakkumula f'diversi partijiet tal-ġisem u jwassal għal sintomi li jinkludu uġigħ addominali (uġigħ fiż-żaqq), depożiti ta' xaħam taħt il-ġilda u pankreatite (infjammazzjoni tal-frixa). Tryngolza jintuża għat-trattament ta' FCS li ġiet ikkonfermata permezz ta' ttestjar ġenetiku.

FCS hija rari, u Tryngolza ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fl-21 ta' Awwissu 2024. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjonijiet orfni tinstab fuq is-sit web tal-EMA.

Tryngolza fih is-sustanza attiva olezarsen.

Kif jintuża Tryngolza?

Tryngolza jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u jiġi bħala soluzzjoni għall-injezzjoni f'pinen mimlija lesti. Dan jiġi injettat darba fix-xahar taħt il-ġilda fl-addome (iż-żaqq), fin-naħa ta' quddiem tal-koxxa jew fuq wara tan-naħa ta' fuq tad-driegħ. Il-pazjenti jew il-persuni li jieħdu ħsiebhom jistgħu jinjettaw Tryngolza huma stess ladarba jkunu ġew imħarrġa.

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

Kif jaħdem Tryngolza?

Is-sustanza attiva f'Tryngolza, l-olezarsen, hija "oligonukleotid antisens ", biċċa qasira ħafna ta' RNA (tip ta' materjal ġenetiku) sintetiku (magħmul mill-bniedem). Ġiet iddisinjata biex timblokka l-produzzjoni ta' proteina msejħa apolipoproteina C-III (apoC-III), li tnaqqas ir-ritmu tat-tkissir tax-xaħmijiet. Billi timblokka l-produzzjoni ta' din il-proteina, il-mediċina tnaqqas il-livell tat-trigliċeridi fid-demm u, b'riżultat ta' dan, l-akkumulazzjoni tax-xaħam fil-ġisem.

© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

X’inhuma l-benefiċċji ta’ Tryngolza li ħarġu mill-istudji?

Tryngolza ntwera li huwa effettiv fit-tnaqqis tal-livelli ta’ trigliċeridi fid-demm fi studju ewlieni wieħed li involva 66 adult b’FCS. Il-pazjenti kollha fl-istudju kienu fuq dieta kkontrollata minbarra li ngħataw Tryngolza jew plaċebo (trattament fint).

Wara 6 xhur ta’ trattament, il-pazjenti li ngħataw Tryngolza kellhom tnaqqis medju fil-livell ta’ trigliċeridi fid-demm ta’ 32 %, meta mqabbla ma’ żieda medja ta’ 12 % f’pazjenti li ngħataw plaċebo. Dan l-effett inżamm u tjieb wara sena ta’ trattament; l-istudju wera wkoll li kien hemm ħafna inqas każijiet ta’ pankreatite akuta f’pazjenti li kienu qed jużaw Tryngolza meta mqabbla ma’ dawk li kienu qed jużaw il-plaċebo.

X’inhuma r-riskji assoċjati ma’ Tryngolza?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet bi Tryngolza, ara l-fuljett ta’ tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni bi Tryngolza (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu eritema (ħmura tal-ġilda) fis-sit tal-injezzjoni, uġigħ ta’ ras, uġigħ fil-ġogi u rimettar.

Għaliex Tryngolza ġie awtorizzat fl-UE?

Tryngolza ntwera li jnaqqas il-livelli tat-trigliċeridi fid-demm u jnaqqas ir-riskju ta’ pankreatite akuta f’pazjenti b’FCS. Is-sigurtà tal-mediċina kienet ikkunsidrata aċċettabbli, speċjalment il-fatt li Tryngolza ma jidhirx li jaffettwa l-livelli ta’ pjastrini fid-demm (komponenti li jgħinu fit-tagħqid tad-demm). L-iskeda tad-dożaġġ ta’ kull xahar tiegħu u s-sigurtà mtejba ġew ikkunsidrati wkoll bħala ta’ benefiċċju għall-pazjenti b’FCS. L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta’ Tryngolza 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’ Tryngolza?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta’ tagħrif ġew inklużi r-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’ Tryngolza.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta’ Tryngolza hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati bi Tryngolza huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Tryngolza

Aktar informazzjoni dwar Tryngolza tinstab fis-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/tryngolza.