



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tryngolza (*olezarsen*)

Przegląd wiedzy na temat leku Tryngolza i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Tryngolza i w jakim celu się go stosuje

Tryngolza jest lekiem stosowanym jako uzupełnienie diety w leczeniu osób dorosłych z genetycznie potwierdzonym zespołem rodzinnej chylomikronemii (ang. *familial chylomicronemia syndrome*, FCS), chorobą genetyczną, która powoduje wysokie stężenie tłuszczów zwanych trójglicerydami we krwi. Nadmiar tłuszczu odkłada się w różnych częściach organizmu i prowadzi do takich objawów jak ból brzucha, gromadzenie się tłuszczu pod skórą i zapalenie trzustki. Lek Tryngolza stosuje się w leczeniu FCS, który został potwierdzony badaniami genetycznymi.

Ze względu na to, że FCS jest chorobą rzadko występującą, w dniu 21 sierpnia 2024 r. lek Tryngolza uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierociego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Tryngolza jest olezarsen.

Jak stosować lek Tryngolza

Lek wydawany na receptę. Lek jest dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu półautoamtycznym napełnionym. Lek podaje się raz w miesiącu we wstrzyknięciu podskórnym w brzuch, przednią część uda lub tylną część ramienia. Po przeszkoleniu pacjenci lub ich opiekunowie mogą samodzielnie wstrzykiwać lek Tryngolza.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Tryngolza znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Tryngolza

Substancja czynna leku Tryngolza, olezarsen, jest „oligonukleotydem antysensownym”, bardzo krótkim fragmentem syntetycznego (sztucznego) RNA (rodzaj materiału genetycznego). Został on opracowany w taki sposób, aby blokował produkcję białka zwanego apolipoproteiną C-III (apoC-III), które spowalnia rozpad tłuszczów. Blokując produkcję tego białka, lek obniża poziom trójglicerydów we krwi, a w rezultacie gromadzenie się tłuszczu w organizmie.

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



Korzyści ze stosowania leku Tryngolza wykazane w badaniach

W jednym badaniu głównym z udziałem 66 osób dorosłych z FCS wykazano, że lek Tryngolza jest skuteczny w obniżaniu stężenia trójglicerydów we krwi. Oprócz przyjmowania leku Tryngolza lub placebo (leczenie pozorowane) wszyscy pacjenci w badaniu stosowali dietę kontrolowaną.

Po 6 miesiącach leczenia u pacjentów otrzymujących lek Tryngolza odnotowano średnie zmniejszenie stężenia trójglicerydów we krwi o 32%, w porównaniu ze średnim wzrostem o 12% u pacjentów, którym podawano placebo. Działanie to utrzymywało się i uległo poprawie po roku leczenia; w badaniu wykazano również, że liczba przypadków ostrego zapalenia trzustki u pacjentów stosujących lek Tryngolza była znacznie mniejsza niż u pacjentów otrzymujących placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Tryngolza

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Tryngolza znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Tryngolza (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: rumień (zaczzerwienienie skóry) w miejscu wstrzyknięcia, ból głowy, ból stawów i wymioty.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Tryngolza w UE

Wykazano, że lek Tryngolza obniża stężenie trójglicerydów we krwi i zmniejsza ryzyko ostrego zapalenia trzustki u pacjentów z FCS. Bezpieczeństwo stosowania leku uznano za dopuszczalne, zwłaszcza że lek Tryngolza prawdopodobnie nie wpływa na poziom płytek krwi (składników przyczyniających się do krzepnięcia krwi). Uznano również, że miesięczny schemat dawkowania i poprawa bezpieczeństwa stosowania leku są korzystne dla pacjentów z FCS. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Tryngolza przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Tryngolza

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Tryngolza w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Tryngolza są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Tryngolza są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Tryngolza

Dalsze informacje dotyczące leku Tryngolza znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/tryngolza.