

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

Tegsedi (*inotersen*)

Um resumo sobre Tegsedi e porque está autorizado na UE

O que é o Tegsedi e para que é utilizado?

O Tegsedi é um medicamento utilizado para tratar lesões causadas aos nervos pela amiloidose associada à transtirretina hereditária (ATTRh), uma doença na qual as proteínas designadas amiloides se acumulam em tecidos no organismo, incluindo em torno dos nervos.

O Tegsedi é utilizado em doentes adultos nos primeiros dois estádios das lesões nos nervos (estádio 1, quando o doente é capaz de caminhar sem ajuda, e estágio 2, quando o doente ainda consegue caminhar, mas necessita de ajuda).

A ATTRh é uma doença rara, e o Tegsedi foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 26 de março de 2014. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Como se utiliza o Tegsedi?

O Tegsedi só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com ATTRh.

O medicamento está disponível na forma de solução para injeção sob a pele em seringas pré-cheias (284 mg). A dose recomendada é uma injeção uma vez por semana, administrada sob a pele na barriga, zona superior da coxa ou zona superior do braço. A primeira injeção deve ser administrada sob a supervisão de um profissional de saúde qualificado, e os doentes ou prestadores de cuidados podem administrar as injeções seguintes após receberem formação adequada.

Dado que o Tegsedi pode causar uma redução no número de plaquetas do sangue (representando um risco de hemorragia), as contagens de plaquetas do sangue têm de ser monitorizadas durante o tratamento com Tegsedi, e a dose do medicamento e a frequência da sua administração ajustadas em conformidade.

Para mais informações sobre a utilização de Tegsedi, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona o Tegsedi?

Em doentes com ATTRh, uma proteína chamada transtirretina que circula no sangue apresenta defeitos e decompõe-se facilmente. A proteína decomposta forma depósitos amiloides nos tecidos e órgãos no organismo, incluindo em torno dos nervos, onde interfere com as suas funções normais.

A substância ativa do Tegsedi, o inotersen, é um «oligonucleótido antissentido», um fragmento muito pequeno de material genético sintético que foi concebido para se ligar à célula responsável por produzir a transtirretina e bloquear o seu material genético. Esta ação reduz a produção de transtirretina, reduzindo assim a formação de amiloides e aliviando os sintomas da amiloidose ATTRh.

Quais os benefícios demonstrados por Tegsedi durante os estudos?

Num estudo principal envolvendo 173 doentes com ATTRh com lesões nos nervos de estágio 1 ou 2, o Tegsedi demonstrou ser mais eficaz que o placebo (um tratamento simulado) a abrandar as lesões nos nervos causadas pela doença. As principais medidas de eficácia foram as alterações nas lesões nos nervos e na qualidade de vida dos doentes, conforme medidas utilizando escalas padrão denominadas «mNIS+7» e «Norfolk QoL-DN», respetivamente. Após 15 meses de tratamento, a pontuação da mNIS+7, utilizada para avaliar as lesões nos nervos, piorou em menor escala com Tegsedi (cerca de 11 pontos) do que com placebo (cerca de 25 pontos). A qualidade de vida, medida pela pontuação Norfolk QoL-DN, piorou em cerca de 4 pontos em doentes tratados com Tegsedi, em comparação com cerca de 13 pontos em doentes a receber placebo.

Quais são os riscos associados ao Tegsedi?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Tegsedi (que podem afetar mais de 1 em 10 pessoas) são reações no local da injeção, náuseas (sentir-se indisposto), nível baixo de glóbulos vermelhos, dor de cabeça, febre, edema periférico (inchaço, especialmente dos tornozelos e pés), arrepios, vômitos e contagens baixas de plaquetas que podem resultar em hemorragia e hematomas. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Tegsedi, consulte o Folheto Informativo.

O Tegsedi não pode ser utilizado em doentes com contagens baixas de plaquetas (menos de $100 \times 10^9/l$), e por doentes com problemas renais ou hepáticos graves. Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Porque está o Tegsedi autorizado na UE?

O Tegsedi demonstrou ser eficaz no tratamento de lesões nos nervos de estágio 1 ou estágio 2 com ATTRh; os dados disponíveis não foram suficientes para assumir um efeito benéfico em doentes com estágio 3 (os doentes confinados a uma cadeira de rodas). Em face da necessidade médica não colmatada, o perfil de segurança do Tegsedi foi considerado aceitável e os riscos controláveis com monitorização específica, redução da dose e regras de paragem.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios do Tegsedi são superiores aos seus riscos e que o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Tegsedi?

A empresa que comercializa o Tegsedi irá fornecer um cartão de alerta com informação sobre a segurança do medicamento e como controlar os efeitos secundários.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Tegsedi.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização do Tegsedi são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com o Tegsedi são cuidadosamente avaliados e são tomadas todas as medidas necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre o Tegsedi

Mais informações sobre o Tegsedi podem ser encontradas no sítio da internet da

Agência: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.