



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tryngolza (*olezarsen*)

Um resumo sobre Tryngolza e por que está autorizado na UE

O que é Tryngolza e para que é utilizado?

Tryngolza é um medicamento utilizado em associação com dieta para o tratamento de adultos com síndrome de quilomiconemia familiar (SQF), uma doença genética que dá origem a níveis elevados de gorduras (triglicéridos) no sangue. A gordura em excesso acumula-se em várias partes do corpo e causa sintomas, incluindo dor abdominal (dor de barriga), depósitos de gordura sob a pele e pancreatite (inflamação do pâncreas). Tryngolza é utilizado para o tratamento da SQF confirmada por testes genéticos.

A SQF é uma doença rara, e Tryngolza foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 21 de agosto de 2024. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web](#) da EMA.

Tryngolza contém a substância ativa olezarsen.

Como se utiliza Tryngolza?

Tryngolza só pode ser obtido mediante receita médica e está disponível na forma de solução injetável em canetas pré-cheias. É injetado uma vez por mês sob a pele no abdómen (barriga), na parte anterior da coxa ou na parte posterior do braço. Os doentes ou os seus cuidadores podem autoinjetar Tryngolza depois de receberem formação.

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

Como funciona Tryngolza?

A substância ativa de Tryngolza, olezarsen, é um «oligonucleótido antisense», um fragmento muito pequeno de ARN sintético (de origem humana) (um tipo de material genético). Foi concebido para bloquear a produção de uma proteína denominada apolipoproteína C-III (apoC-III), que abranda a degradação das gorduras. Ao bloquear a produção desta proteína, o medicamento reduz o nível de triglicéridos no sangue e, consequentemente, a acumulação de gordura no organismo.

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



Quais os benefícios demonstrados por Tryngolza durante os estudos?

Tryngolza demonstrou ser eficaz na redução dos níveis de triglicéridos no sangue num estudo principal que incluiu 66 adultos com SQF. Todos os doentes no estudo receberam uma dieta controlada, além de receberem Tryngolza ou placebo (um tratamento simulado).

Após 6 meses de tratamento, os doentes que receberam Tryngolza apresentaram uma redução média do nível de triglicéridos no sangue de 32 %, em comparação com um aumento médio de 12 % nos doentes que receberam o placebo. Este efeito manteve-se e melhorou após um ano de tratamento; o estudo também demonstrou que houve muito menos casos de pancreatite aguda em doentes que utilizaram Tryngolza em comparação com os que utilizaram o placebo.

Quais são os riscos associados a Tryngolza?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Tryngolza, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Tryngolza (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem eritema (vermelhidão da pele) no local da injeção, dor de cabeça, dor nas articulações e vômitos.

Por que está Tryngolza autorizado na UE?

Tryngolza demonstrou reduzir os níveis de triglicéridos no sangue e reduzir o risco de pancreatite aguda em doentes com SQF. A segurança do medicamento foi considerada aceitável, especialmente o facto de Tryngolza não parecer afetar os níveis de plaquetas no sangue (componentes que ajudam o sangue a coagular). O seu esquema posológico mensal e a melhoria da segurança também foram considerados de benefício para os doentes com SQF. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Tryngolza são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Tryngolza?

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

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Tryngolza são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Tryngolza são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Tryngolza

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/tryngolza.