



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tegsedi (*inotersen*)

O prezentare generală a Tegsedi și de ce este autorizat acest medicament în UE

Ce este Tegsedi și pentru ce se utilizează?

Tegsedi este un medicament utilizat pentru tratarea afectării neurologice cauzate de amiloidoza ereditară cu transtiretină (hATTR), o boală în care proteinele numite amiloide se acumulează în țesuturile din întregul organism, inclusiv în jurul nervilor.

Tegsedi se utilizează la pacienții adulți aflați în primele două stadii de afectare neurologică (stadiul 1, când pacientul poate merge fără ajutor, și stadiul 2, când pacientul încă mai poate merge, dar are nevoie de ajutor).

hATTR este rară, iar Tegsedi a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 26 martie 2014. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite aici: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Cum se utilizează Tegsedi?

Tegsedi se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratarea pacienților cu hATTR.

Medicamentul este disponibil sub formă de soluție injectabilă subcutanat, aflată în seringi preumplute (284 mg). Doza recomandată este de o injecție o dată pe săptămână, administrată subcutanat (sub piele) în burtă, în coapsă sau în partea superioară a brațului. Prima injecție trebuie administrată sub supravegherea unui profesionist calificat din domeniul sănătății, iar pacienții sau îngrijitorii pot administra injecțiile următoare după ce au fost instruiți în mod corespunzător.

Deoarece Tegsedi poate cauza reducerea numărului de trombocite din sânge (prezentând risc de sângerare), în timpul tratamentului cu Tegsedi trebuie monitorizat numărul de trombocite, iar doza de medicament și frecvența de administrare trebuie ajustate în consecință.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Tegsedi, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



Cum acționează Tegsedi?

La pacienții cu hATTR, o proteină care circulă în sânge, numită transtiretină, este defectuoasă și se descompune ușor. Proteina descompusă formează depozite de amiloid în țesuturile și organele din corp, inclusiv în jurul nervilor, interferând astfel cu funcțiile normale ale acestora.

Substanța activă din Tegsedi, inotersenul, este o „oligonucleotidă antisens”, un fragment foarte mic de material genetic sintetic care a fost conceput pentru a se lega de materialul genetic al celulei responsabile pentru producerea transtiretinei și a-i bloca acțiunea. În acest fel se reduce producția de transtiretină, încetinind astfel formarea de amiloizi și ameliorând simptomele amiloidozei hATTR.

Ce beneficii a prezentat Tegsedi pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal la care au participat 173 de pacienți cu hATTR în stadiul 1 sau 2 de afectare neurologică, Tegsedi s-a dovedit a fi mai eficace decât placebo (un preparat inactiv) în încetinirea afectării neurologice cauzate de boală. Principalele măsuri ale eficacității au fost modificările în afectarea neurologică a pacienților și în calitatea vieții acestora, măsurate folosind scalele standard numite „mNIS+7” și, respectiv, „Norfolk QoL-DN”. După 15 luni de tratament, scorul mNIS+7, folosit pentru evaluarea afectării neurologice, s-a înrăutățit într-o măsură mai mică în cazul Tegsedi (aproximativ 11 puncte) decât în cazul placebo (aproximativ 25 de puncte). Calitatea vieții, măsurată prin scorul Norfolk QoL-DN, s-a înrăutățit cu aproximativ 4 puncte la pacienții tratați cu Tegsedi, față de aproximativ 13 puncte la cei tratați cu placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Tegsedi?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Tegsedi (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt reacții la locul injectării, greață, scăderea numărului de globule roșii, dureri de cap, febră, edem periferic (umflare, în special a gleznelor și a picioarelor), frisoane, vărsături și scăderea numărului de trombocite care poate duce la sângerare și la învinețire. Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Tegsedi, citiți prospectul.

Tegsedi este contraindicat la pacienții cu număr scăzut de trombocite (mai mic de $100 \times 10^9/l$) și la pacienții cu probleme severe de rinichi sau ficat. Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Tegsedi în UE?

Tegsedi s-a dovedit eficace în tratarea stadiului 1 sau a stadiului 2 de afectare neurologică la pacienții cu hATTR; datele disponibile nu au fost suficiente pentru a presupune un efect benefic la pacienții în stadiul 3 (cei imobilizați într-un scaun cu rotile). Având în vedere necesitatea medicală nesatisfăcută, profilul de siguranță pentru Tegsedi a fost considerat acceptabil și riscurile au fost considerate gestionabile în asociere cu condiții specifice de monitorizare, reducere a dozei și reguli de întrerupere.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Tegsedi sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Tegsedi?

Compania care comercializează Tegsedi va furniza un card de avertizare pentru pacienți cu informații privind siguranța medicamentului și modul de gestionare a reacțiilor adverse.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Tegsedi, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Tegsedi sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Tegsedi sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Tegsedi

Informații suplimentare cu privire la Tegsedi sunt disponibile pe site-ul Agenției: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.