

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

Tegsedi (*inotersen*)

Prehľad o lieku Tegsedi a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Tegsedi a na čo sa používa?

Liek Tegsedi sa používa na liečenie poškodenia nervov spôsobeného dedičnou transtyreťínovou amyloidózou (hATTR), ochorením, pri ktorom sa proteíny nazývané amyloidy hromadia v tkanivách rôznych častí tela vrátane tých, ktoré sa nachádzajú okolo nervov.

Tegsedi sa používa u dospelých pacientov v prvých dvoch štádiách poškodenia nervov (1. štádium, keď je pacient schopný chodiť bez pomoci a 2. štádium, keď pacient môže ešte chodiť, ale potrebuje pomoc).

Ochorenie hATTR je zriedkavé, a preto bol liek Tegsedi 26. marca 2014 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia (liek používaný na zriedkavé ochorenia). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ako sa liek Tegsedi používa?

Výdaj lieku Tegsedi je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s hATTR.

Liek je dostupný vo forme injekčného roztoku v naplnenej injekčnej striekačke (284 mg) a podáva sa pod kožu. Odporúčaná dávka je jedna injekcia jedenkrát týždenne podávaná pod kožu na bruchu, hornej časti stehna alebo hornej časti ramena. Prvá injekcia sa má podať pod dohľadom kvalifikovaného zdravotníckeho pracovníka a po príslušnom zaškolení si môžu ďalšie injekcie podávať pacienti sami alebo im ich môžu podávať opatrovatelia.

Keďže liek Tegsedi môže spôsobiť zníženie počtu krvných doštičiek v krvi (čo predstavuje riziko krvácania), počas liečby liekom Tegsedi je potrebné sledovať počet krvných doštičiek a zodpovedajúcim spôsobom upraviť dávku lieku a frekvenciu jeho podávania.

Viac informácií o používaní lieku Tegsedi si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Tegsedi účinkuje?

U pacientov s ochorením hATTR je proteín nazývaný transtyreťín, ktorý cirkuluje v krvi, chybný a ľahko sa rozkladá. Rozložený proteín tvorí amyloidné usadeniny v tkanivách a orgánoch v celom tele vrátane nervov, kde narušuje ich normálne funkcie.

Liečivo lieku Tegsedi, inotersen, je „antisense oligonukleotid“, veľmi krátky kúsok syntetického genetického materiálu, ktorý bol navrhnutý tak, aby sa naviazal na genetický materiál bunky zodpovednej za tvorbu transtyreťínu a blokoval ho. To znižuje tvorbu transtyreťínu, čím sa znižuje aj tvorba amyloidov a zmierňujú sa príznaky hATTR amyloidózy.

Aké prínosy lieku Tegsedi boli preukázané v štúdiách?

V jednej hlavnej štúdii zahŕňajúcej 173 pacientov s ochorením hATTR s poškodením nervu v 1. alebo 2. štádiu sa ukázalo, že liek Tegsedi je pri spomalení poškodenia nervov spôsobeného chorobou účinnejší ako placebo (zdanlivý liek). Hlavnými meradlami účinnosti boli zmeny v poškodení nervov u pacientov a v kvalite života, hodnotené podľa štandardných stupníc nazývaných mNIS + 7, resp. Norfolk QoL-DN. Po 15 mesiacoch liečby sa skóre na stupnici mNIS + 7, ktorá sa použila na hodnotenie poškodenia nervov, pri lieku Tegsedi zhoršilo menej (približne o 11 bodov), ako pri placebe (okolo 25 bodov). Kvalita života meraná pomocou skóre Norfolk QoL-DN sa zhoršila približne o 4 body u pacientov liečených liekom Tegsedi, v porovnaní s približne 13 bodmi u pacientov užívajúcich placebo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Tegsedi?

Najčastejšími vedľajšími účinkami lieku Tegsedi (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 z 10 ľudí) sú reakcie v mieste podania injekcie, nevoľnosť (pocit choroby), nízka hladina červených krviniek, bolesť hlavy, horúčka, periférny opuch (opuchlina, najmä na členkoch a nohách), zimnica, zvracanie a nízky počet krvných doštičiek, čo môže viesť ku krvácaniu a tvorbe podliatin. Zoznam všetkých vedľajších účinkov lieku Tegsedi sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Tegsedi nesmú užívať pacienti s nízkym počtom krvných doštičiek (menej ako $100 \times 10^9/l$) ani pacienti s vážnymi ťažkosťami s obličkami alebo pečeňou. Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo je liek Tegsedi povolený v EÚ?

Ukázalo sa, že liek Tegsedi je účinný pri liečbe poškodenia nervov v 1. alebo 2. štádiu u pacientov s ochorením hATTR; dostupné údaje nepostačovali na dosiahnutie priaznivého účinku u pacientov v 3. štádiu (osoby odkázané na invalidný vozík). Vzhľadom na neuspokojené liečebné potreby bol bezpečnostný profil lieku Tegsedi považovaný za prijateľný a jeho riziká zvládnuteľné, pokiaľ sa dodržiava stanovené sledovanie, zníženie dávok a pravidlá na ukončenie liečby.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Tegsedi sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Tegsedi?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Tegsedi na trh, poskytne pacientom pohotovostné karty s informáciami o bezpečnosti lieku a tom, ako zvládať vedľajšie účinky.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Tegsedi boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Tegsedi sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Tegsedi sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Tegsedi

Ďalšie informácie o lieku Tegsedi sa nachádzajú na webovom sídle agentúry: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.