

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

Tegsedi (*inotersen*)

Pregled zdravila Tegsedi in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Tegsedi in za kaj se uporablja?

Zdravilo Tegsedi se uporablja za zdravljenje poškodbe živcev, ki jo povzroča transtiretinska amiloidoza (hATTR), tj. bolezen, pri kateri se beljakovine, imenovane amiloidi, kopičijo v tkivih po telesu, tudi okoli živcev.

Zdravilo Tegsedi se uporablja pri odraslih bolnikih v prvih dveh stadijih poškodbe živcev (v 1. stadiju, v katerem bolnik lahko hodi brez pomoči, in 2. stadiju, v katerem bolnik še lahko hodi, vendar potrebuje pomoč).

Bolezen hATTR je redka, zato je bilo zdravilo Tegsedi 26. marca 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kako se zdravilo Tegsedi uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Tegsedi je le na recept, zdravljenje pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov s hATTR.

Zdravilo je na voljo kot raztopina za injiciranje pod kožo v napolnjenih injekcijskih brizgah (284 mg). Priporočeni odmerek je ena injekcija enkrat tedensko, ki se daje pod kožo v trebuh, zgornji del stegen ali nadlaket. Prvo injekcijo je treba dati pod nadzorom usposobljenega zdravstvenega delavca, bolniki ali njihovi skrbniki pa lahko po opravljenem ustreznem usposabljanju injekcije dajejo sami.

Ker zdravilo Tegsedi lahko povzroči zmanjšanje števila trombocitov v krvi (kar pomeni tveganje za krvavitve), je treba med zdravljenjem z zdravilom Tegsedi spremljati število trombocitov v krvi ter skladno s tem prilagoditi odmerek in pogostnost dajanja zdravila.

Za več informacij glede uporabe zdravila Tegsedi glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Tegsedi deluje?

Pri bolnikih s hATTR je beljakovina transtiretin v krvnem obtoku okvarjena in se hitro razgradi. Razgrajena beljakovina tvori amiloidne skupke v tkivih in organih po vsem telesu, tudi okoli živcev, kjer moti njihovo normalno delovanje.

Učinkovina zdravila Tegsedi, inotersen, je „protismerni oligonukleotid“, tj. zelo kratek košček umetnega genetskega materiala, ki je bil zasnovan tako, da se pritrdi na genetski material celice, odgovorne za tvorbo transtiretina, in ga zavira. Tako se zmanjša tvorba transtiretina, kar zmanjša nastajanje amiloidov in olajša simptome amiloidoze hATTR.

Kakšne koristi zdravila Tegsedi so se pokazale v študijah?

V eni glavni študiji, ki je vključevala 173 bolnikov s hATTR v 1. ali 2. stadiju poškodbe živcev, so dokazali, da je zdravilo Tegsedi pri upočasnitvi poškodbe živcev, ki jo povzroča bolezen, učinkovitejše od placeba (zdravila brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti so bile spremembe poškodbe živcev in kakovosti življenja bolnikov, izmerjene s standardnima lestvicama „mNIS+7“ oziroma „Norfolk QoL-DN“. Po 15 mesecih zdravljenja se je rezultat po lestvici mNIS+7, ki se uporablja za ocenjevanje poškodb živcev, pri zdravilu Tegsedi poslabšal v manjšem obsegu (za približno 11 točk) kot pri placebu (za približno 25 točk). Kakovost življenja, merjena z lestvico Norfolk QoL-DN, se je pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Tegsedi, poslabšala za približno 4 točke, pri bolnikih, ki so prejeli placebo, pa za približno 13 točk.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Tegsedi?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Tegsedi (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so reakcije na mestu injiciranja, navzea (siljenje na bruhanje), nizka vrednost rdečih krvnih celic, glavobol, povišana telesna temperatura, periferni edem (otekanje, zlasti gležnjev in stopal), mrzlica, bruhanje in zmanjšano število trombocitov v krvi, kar lahko privede do krvavitve in podplutb. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Tegsedi, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Tegsedi se ne sme uporabljati pri bolnikih z zmanjšanim številom trombocitov (pod $100 \times 10^9/l$) in pri bolnikih z resnimi težavami z ledvicami ali jetri. Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Tegsedi odobreno v EU?

Zdravilo Tegsedi se je izkazalo za učinkovito pri zdravljenju 1. ali 2. stadija poškodbe živcev pri bolnikih s hATTR; razpoložljivi podatki ne zadoščajo za izpeljavo predpostavke o koristih pri bolnikih v 3. stadiju (ki so na invalidskem vozičku). Ob upoštevanju neizpolnjene medicinske potrebe je bil varnostni profil zdravila Tegsedi ocenjen kot sprejemljiv, tveganja pa obvladljiva ob upoštevanju posebnih pravil za spremljanje, zmanjšanje odmerka in ukinitve zdravila.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Tegsedi večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Tegsedi?

Podjetje, ki trži zdravilo Tegsedi, bo priskrbelo opozorilno kartico za bolnike, kjer bodo navedene informacije o varnosti zdravila in obvladovanju neželenih učinkov.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Tegsedi upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Tegsedi stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Tegsedi, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Tegsedi

Nadaljnje informacije za zdravilo Tegsedi so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.