



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tryngolza (*olezarsen*)

Pregled zdravila Tryngolza in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Tryngolza in za kaj se uporablja?

Tryngolza je zdravilo, ki se uporablja v kombinaciji z dieto za zdravljenje odraslih s sindromom družinske hilomikronemije (FCS), tj. genetskim obolenjem, ki povzroča visoke ravni maščob, imenovanih trigliceridi, v krvi. Presežna maščoba se kopiči v različnih delih telesa in pri tem povzroča simptome, kot so bolečine v trebuhu, nalaganje maščobe pod kožo in pankreatitis (vnetje trebušne slinavke). Zdravilo Tryngolza se uporablja za zdravljenje sindroma družinske hilomikronemije, ki je bil potrjen z genetskim testiranjem.

Sindrom družinske hilomikronemije je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Tryngolza 21. avgusta 2024 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Tryngolza vsebuje učinkovino olezarsen.

Kako se zdravilo Tryngolza uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Tryngolza je le na recept, na voljo pa je kot raztopina za injiciranje v napolnjenih injekcijskih peresnikih. Injicira se enkrat mesečno v podkožje trebuha, sprednjega dela stegna ali zadnjega dela nadlakti. Bolniki ali njihovi negovalci lahko po ustreznem usposabljanju zdravilo Tryngolza injicirajo sami.

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

Kako zdravilo Tryngolza deluje?

Učinkovina v zdravilu Tryngolza, olezarsen, je „protismiselni oligonukleotid“, zelo kratek košček sintetične (umetne) RNK (vrste genskega materiala). Zasnovan je tako, da zavira proizvodnjo beljakovine, imenovane apolipoprotein C-III (APOC-III), ki upočasnjuje razgradnjo maščob. Zdravilo z zaviranjem tvorbe te beljakovine zniža raven trigliceridov v krvi in posledično kopičenje maščob v telesu.

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



Kakšne koristi zdravila Tryngolza so se pokazale v študijah?

Zdravilo Tryngolza se je izkazalo za učinkovito pri zniževanju ravni trigliceridov v krvi v eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 66 odraslih s sindromom družinske hilomikronemije. Vsi bolniki v študiji so bili poleg jemanja zdravila Tryngolza ali placeba (zdravila brez učinkovine) na nadzorovani dieti.

Po šestih mesecih zdravljenja so se pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Tryngolza, ravni trigliceridov v krvi povprečno zmanjšale za 32 % v primerjavi s povprečnim povečanjem za 12 % pri bolnikih, ki so prejeli placebo. Ta učinek se je po enem letu zdravljenja ohranil in izboljšal, študija pa je pokazala tudi, da je bilo pri bolnikih, ki so uporabljali zdravilo Tryngolza, veliko manj primerov akutnega pankreatitisa kot pri tistih, ki so jemali placebo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Tryngolza?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Tryngolza glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Tryngolza (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so eritem (pordelost kože) na mestu injiciranja, glavobol, bolečine v sklepih in bruhanje.

Zakaj je bilo zdravilo Tryngolza odobreno v EU?

Dokazano je bilo, da zdravilo Tryngolza znižuje ravni trigliceridov v krvi in zmanjšuje tveganje za akutni pankreatitis pri bolnikih s sindromom družinske hilomikronemije. Varnost zdravila se je štela za sprejemljivo, zlasti zaradi dejstva, da zdravilo Tryngolza očitno ne vpliva na ravni trombocitov v krvi (sestavin, ki pomagajo pri strjevanju krvi). Ocenjeno je bilo tudi, da njegova shema mesečnega odmerjanja in izboljšana varnost bolnikom s tem obolenjem koristita. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Tryngolza 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 Tryngolza?

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

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

Druge informacije o zdravilu Tryngolza

Nadaljnje informacije za zdravilo Tryngolza so na voljo na spletni strani agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/tryngolza.