

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

## Tegsedi (*inotersen*)

### Sammanfattning av Tegsedi och varför det är godkänt inom EU

#### Vad är Tegsedi och vad används det för?

Tegsedi är ett läkemedel som används för att behandla nervskador som orsakas av ärftlig transtyrelinamyloidos (hATTR), en sjukdom som innebär att proteiner som kallas amyloider ansamlas i vävnader runt om i kroppen, bland annat runt nerverna.

Tegsedi ges till vuxna patienter under de två första stadierna av nervskadan (stadium 1, när patienten kan gå utan stöd, och stadium 2, när patienten fortfarande kan gå men behöver hjälp).

Sjukdomen hATTR är sällsynt och Tegsedi klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 26 mars 2014. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

#### Hur används Tegsedi?

Tegsedi är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med hATTR.

Läkemedlet finns som en injektionsvätska, lösning, som ges under huden i förfyllda sprutor (284 mg). Den rekommenderade dosen är en injektion en gång i veckan, som ges under huden i magen, lårets övre del eller överarmen. Den första injektionen ska ges under övervakning av kvalificerad hälso- och sjukvårdspersonal, och patienter eller vårdare kan ge efterföljande injektioner efter att de fått lämpliga instruktioner.

Eftersom Tegsedi kan göra att antalet blodplättar i blodet minskar (vilket utgör en blödningsrisk) måste antalet blodplättar övervakas under behandlingen med Tegsedi och läkemedlets dos och hur ofta det ges justeras i enlighet med detta.

För att få mer information om hur du använder Tegsedi, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

## Hur verkar Tegsedi?

Hos patienter med hATTR cirkulerar ett defekt protein i blodet som kallas transtyretin och som lätt bryts sönder. Det sönderbrutna proteinet bildar ansamlingar av amyloid i vävnader och organ runtom i kroppen, bland annat runt nerverna, där det stör deras normala funktion.

Den aktiva substansen i Tegsedi, inotersen, är en "antisensoligonukleotid", en mycket kort bit syntetiskt genetiskt material som har utformats för att fästa vid och blockera det genetiska material i cellen som ansvarar för att producera transtyretin. Detta leder till minskad produktion av transtyretin, vilket gör att bildandet av amyloider minskar och att symtomen på hATTR-amyloidosis blir lindrigare.

## Vilka fördelar med Tegsedi har visats i studierna?

I en huvudstudie på 173 hATTR-patienter med nervskada i stadium 1 eller 2 visade sig Tegsedi vara effektivare än placebo (en överksam behandling) när det gäller att sakta ner den nervskada som orsakas av sjukdomen. De främsta effektmåtten var förändringarna i patientens nervskada och livskvalitet, vilket mättes med hjälp av standardskalor som kallas "mNIS+7" respektive "Norfolk QoL-DN". Efter 15 månaders behandling försämrades mNIS+7-poängen, som användes för att bedöma nervskada, i mindre grad med Tegsedi (cirka 11 poäng) än med placebo (cirka 25 poäng). Livskvalitet, som mättes genom Norfolk QoL-DN-poäng, försämrades med cirka 4 poäng hos patienter som behandlades med Tegsedi, jämfört med cirka 13 poäng hos dem som fick placebo.

## Vilka är riskerna med Tegsedi?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Tegsedi (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är reaktioner vid injektionsstället, illamående, låga nivåer av röda blodkroppar, huvudvärk, feber, perifert ödem (svullnad, särskilt i vristen och fötter), frossa, kräkningar och lågt antal blodplättar vilket kan leda till blödning och blåmärken. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Tegsedi finns i bipacksedeln.

Tegsedi får inte ges till patienter med lågt antal blodplättar (under  $100 \times 10^9/l$ ), och till patienter med allvarliga njur- eller leverproblem. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

## Varför är Tegsedi godkänt i EU?

Tegsedi visade sig vara effektivt vid behandling av nervskada i stadium 1 eller 2 hos patienter med hATTR; de tillgängliga uppgifterna räckte inte för antagandet av en gynnsam effekt hos patienter i stadium 3 (de som sitter i rullstol). Mot bakgrund av det ej tillgodosedda vårdbehovet ansågs Tegsedis säkerhetsprofil vara godtagbar och riskerna hanterbara med specifik övervakning, dosminskning och riktlinjer för utsättande.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Tegsedi är större än riskerna och att Tegsedi kan godkännas för försäljning i EU.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Tegsedi?

Företaget som marknadsför Tegsedi ska förse patienterna med varningskort med information om läkemedlets säkerhet och hur biverkningar ska hanteras.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Tegsedi har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för läkemedlet kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Tegsedi utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder för att skydda patienter vidtas.

## **Mer information om Tegsedi**

Mer information om Tegsedi finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](https://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).