



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tryngolza (*olezarsen*)

Sammanfattning av Tryngolza och varför det är godkänt inom EU

Vad är Tryngolza och vad används det för?

Tryngolza är ett läkemedel som används tillsammans med kost för att behandla vuxna med familjär kylomikronemi (FCS), en genetisk sjukdom som ger upphov till höga nivåer i blodet av triglycerider, en typ av fetter. Överskott av fett byggs upp i olika delar av kroppen och leder till symtom, inklusive buksmärta, fettdepåer under huden och pankreatit (inflammation i bukspottkörteln). Tryngolza används för att behandla FCS som har bekräftats genom genetisk testning.

FCS är sällsynt och Tryngolza klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 21 augusti 2024. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Tryngolza innehåller den aktiva substansen olezarsen.

Hur används Tryngolza?

Tryngolza är receptbelagt och finns som injektionsvätska, lösning i förfyllda injektionspennor. Det ges som en injektion en gång i månaden under huden i buken (magen), framsidan av låret eller baksidan av överarmen. Patienterna eller deras vårdare kan själva injicera Tryngolza när de har fått lära sig hur man gör.

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

Hur verkar Tryngolza?

Den aktiva substansen i Tryngolza, olezarsen, är en "antisens-oligonukleotid", en mycket kort del av syntetiskt (konstgjort) RNA (en typ av genetiskt material). Den har utformats för att blockera produktionen av proteinet apolipoprotein C-III (apoC-III), vilket fördröjer nedbrytningen av fett. Genom att blockera produktionen av detta protein minskar läkemedlet nivån av triglycerider i blodet och därmed ansamlingen av fett i kroppen.

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



Vilka fördelar med Tryngolza har visats i studierna?

Tryngolza visade sig vara effektivt när det gäller att minska triglyceridnivåerna i blodet i en huvudstudie på 66 vuxna med FCS. Alla patienter i studien stod på en kontrollerad kost som tillägg till Tryngolza eller placebo (översam behandling).

Efter sex månaders behandling hade patienterna som fick Tryngolza en genomsnittlig minskning av triglyceridnivån i blodet på 32 procent, jämfört med en genomsnittlig ökning på 12 procent hos patienterna som fick placebo. Denna effekt kvarstod och förbättrades efter ett års behandling. Studien visade också att antalet fall av akut pankreatit hos patienter som fick Tryngolza var mycket lägre än hos dem som fick placebo.

Vilka är riskerna med Tryngolza?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Tryngolza finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Tryngolza (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är erytem (hudrodnad) på injektionsstället, huvudvärk, ledsmärta och kräkningar.

Varför är Tryngolza godkänt i EU?

Tryngolza visade sig minska nivåerna av triglycerider i blodet och minska risken för akut pankreatit hos patienter med FCS. Läkemedlets säkerhet ansågs godtagbar, särskilt med hänsyn till att Tryngolza inte verkar påverka blodnivåerna av trombocyter (komponenter som hjälper blodet att koagulera). Det månatliga doseringsschemat och den förbättrade säkerheten ansågs också vara till fördel för patienter med FCS. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Tryngolza är större än riskerna och att Tryngolza kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Tryngolza?

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

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Tryngolza kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Tryngolza utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Tryngolza

Mer information om Tryngolza finns på EMA:s webbplats:

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