

COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene a Medicamentului (European Medicines Agency = EMA) referitor la recomandarea EMA privind autorizarea pentru punere pe piață a medicamentului Tegsedî, medicament nou pentru tratarea amiloidozei cu transtiretină, boală rară cu transmitere ereditară

EMA, 1 iunie 2018

Comunicat de presă EMA

referitor la recomandarea EMA privind autorizarea pentru punere pe piață a medicamentului Tegsedî, medicament nou pentru tratarea amiloidozei cu transtiretină, boală rară cu transmitere ereditară

Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) recomandă acordarea autorizației de punere pe piața UE a medicamentului Tegsedî (inotersen), pentru tratarea polineuropatiei în stadiu 1 sau stadiu 2 (boală în care apar leziuni ale nervilor periferici) la pacienții cu amiloidoză cu transtiretină (hATTR). Medicamentul are drept scop modificarea progresiei bolii și îmbunătățirea calității vieții pacienților.

Proteina cunoscută sub numele de transtiretină din sângele pacienților cu hATTR prezintă un defect din cauza căruia se descompune ușor. Proteina descompusă formează o substanță fibroasă numită amiloid care se acumulează în sistemul nervos periferic și la nivel de multiple organe (tractul gastrointestinal, rinichi și inimă), afectând funcționarea normală a acestora.

Tegsedî este o „oligonucleotidă antisens”, un fragment foarte scurt de ADN sintetic conceput pentru a se atașa la materialul genetic al celulelor responsabile de producerea proteinei transtiretină. Astfel, se anticipează că se va reuși reducerea producției de transtiretină, diminuându-se formarea de amiloizi și ameliorându-se simptomele bolii.

Efectele medicamentului Tegsedî au fost evaluate în cadrul unui studiu la care au participat pacienți hATTR cu polineuropatie în stadiul 1 sau 2. Conform rezultatelor studiului, medicamentul are efecte relevante clinic asupra manifestărilor neurologice ale bolii și asupra calității vieții pacienților. Eficacitatea acestui tratament la pacienții cu polineuropatie în stadiul 3 nu este încă demonstrată.

Opțiunile actuale pentru tratarea hATTR sunt transplantul de ficat, tratamentul cu tafamid și utilizarea în afara indicațiilor autorizate (*off label*) a unui medicament antiinflamator nesteroidian (AINS). Toate aceste opțiuni prezintă limitări considerabile la pacienții cu polineuropatie în stadiile 2 și 3, ceea ce înseamnă existența unei nevoi medicale neacoperite clare. Având în vedere acest lucru, CHMP a considerat că medicamentul Tegsedî prezintă interes major pentru sănătatea publică și a fost de acord cu solicitarea formulată de evaluare accelerată a acestui medicament.

Deoarece hATTR este o boală rară, diagnosticată în aproximativ trei cazuri la 10 milioane de persoane anual în Europa, medicamentul Tegsedî a fost desemnat ca medicament orfan în anul 2014.

Conform procedurii la momentul aprobării, Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products =COMP) își va re-analiza decizia de desemnare a acestui medicament ca orfan, stabilind astfel dacă informațiile de până acum permit menținerea statutului de orfan al medicamentului Tegsedî și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru acest medicament.

Opinia adoptată de CHMP privitoare la medicamentul Tegsedî constituie o etapă intermediară în procesul de punere a acestuia la dispoziția pacientului. În momentul de față, această opinie urmează trimisă către Comisia Europeană în vederea adoptării unei decizii privind acordarea autorizației de punere pe piață valabile la în întreaga UE. Odată acordată această autorizație, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile privind prețul și rambursarea, pe baza rolului potențial/utilizării medicamentului în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Notă:

Solicitantul de autorizare pentru punere pe piață pentru medicamentul Tegsedî este compania este IONIS USA Ltd