



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tegsedi (*inotersén*)

Información general sobre Tegsedi y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Tegsedi y para qué se utiliza?

Tegsedi es un medicamento que se utiliza para tratar una lesión de los nervios provocada por la amiloidosis familiar por transtiretina (ATTR), una enfermedad en la que se acumulan unas proteínas denominadas amiloides en los tejidos de todo el organismo, en particular alrededor de los nervios.

Tegsedi se utiliza en pacientes adultos en los dos primeros estadios de la lesión nerviosa (estadio 1, en el que el paciente es capaz de caminar sin ayuda, y estadio 2, en el que el paciente aún puede caminar, pero con ayuda).

La ATTR es «rara», y Tegsedi ha sido designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 26 de marzo de 2014. Puede encontrar información adicional sobre la designación como medicamento huérfano en: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

¿Cómo se usa Tegsedi?

Tegsedi solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe ser iniciado y supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con ATTR.

Tegsedi se presenta en una solución inyectable por vía subcutánea en jeringas precargadas (284 mg). La dosis recomendada es de una inyección una vez a la semana, administrada bajo la piel del abdomen, la parte superior del muslo o la parte superior del brazo. La primera inyección debe administrarse bajo la supervisión de un profesional sanitario cualificado, y los pacientes o sus cuidadores podrán administrar las inyecciones posteriores una vez se les haya enseñado debidamente a hacerlo.

Dado que Tegsedi puede reducir el número de plaquetas en la sangre (con el consiguiente riesgo de hemorragia), es necesario vigilar el recuento de plaquetas durante el tratamiento con Tegsedi y ajustar en consecuencia la dosis del medicamento y la frecuencia con que se administra.



Para mayor información sobre el uso de Tegsedi, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Tegsedi?

En la ATTR, la proteína transtiretina, que circula en la sangre, es defectuosa y se descompone con facilidad. Al descomponerse, forma depósitos de amiloide en los tejidos y órganos de todo el cuerpo, así como alrededor de los nervios, e interfiere en su normal funcionamiento.

El principio activo de Tegsedi, el inotersén, es un «oligonucleótido antisentido», un material genético sintético muy corto que se ha diseñado para unirse al material genético de la célula responsable de producir la transtiretina y bloquearlo. Esto disminuye la producción de transtiretina, con lo que se reduce la formación de amiloide y se alivian los síntomas de la amiloidosis por ATTR.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Tegsedi en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 173 pacientes con ATTR y afectación nerviosa en estadio 1 o 2, se demostró que Tegsedi era más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) para frenar la lesión nerviosa provocada por la enfermedad. Los criterios principales de valoración de la eficacia fueron los cambios experimentados por los pacientes en la lesión nerviosa y la calidad de vida, que se determinaron mediante unas escalas normalizadas denominadas «mNIS+7» y «Norfolk QoL-DN», respectivamente. Después de 15 meses de tratamiento, la puntuación de la escala mNIS+7, utilizada para evaluar la lesión nerviosa, empeoró en menor medida con Tegsedi (alrededor de 11 puntos) que con el placebo (alrededor de 25 puntos). La calidad de vida, determinada mediante la escala Norfolk QoL-DN, empeoró en unos 4 puntos en los pacientes tratados con Tegsedi, en comparación con unos 13 puntos en los tratados con el placebo.

¿Cuál el riesgo asociado a Tegsedi?

Los efectos adversos más frecuentes de Tegsedi (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son reacciones en el lugar de la inyección, náuseas (ganas de vomitar), disminución del número de glóbulos rojos, dolor de cabeza, fiebre, edema periférico (hinchazón, especialmente de los tobillos y los pies), escalofríos, vómitos y recuentos bajos de plaquetas, que pueden causar hemorragias y hematomas. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados con Tegsedi, consultar el prospecto.

Tegsedi no debe utilizarse en pacientes con recuentos bajos de plaquetas (menos de $100 \times 10^9/l$) ni en pacientes con problemas renales o hepáticos graves. La lista completa de restricciones se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Tegsedi en la UE?

Se demostró que Tegsedi era eficaz para tratar la lesión nerviosa en estadio 1 o 2 en pacientes con ATTR; los datos disponibles no eran suficientes para presuponer un efecto beneficioso para los pacientes en estadio 3 (confinados a una silla de ruedas). Teniendo en cuenta la existencia de una necesidad médica no cubierta, se consideró que el perfil de seguridad de Tegsedi era aceptable y que los riesgos podían controlarse con normas específicas de vigilancia, reducción de la dosis e interrupción del tratamiento.

Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Tegsedi son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Tegsedí?

La compañía que comercializa Tegsedí facilitará a los pacientes una tarjeta de alerta con información sobre la seguridad del medicamento y el modo de controlar los efectos adversos.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Tegsedí se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Tegsedí se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Tegsedí son evaluados cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Tegsedí

Puede encontrar información adicional sobre Tegsedí en la página web de la Agencia:
[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).