

Public Summary SwissPAR del 23.06.2020

Vyndaqel® (principio attivo: tafamidis e tafamidis meglumina)

Prima omologazione in Svizzera: 5 marzo 2020

Medicamento per il trattamento dell'amiloidosi da transtiretina in pazienti adulti affetti da cardiomiopatia wild-type o ereditaria

Informazioni sul medicamento

Vyndaqel è un medicamento contenente il principio attivo tafamidis o tafamidis meglumina. È stato omologato in Svizzera il 5 marzo 2020 per il trattamento dell'amiloidosi da transtiretina in pazienti adulti con cardiomiopatia wild-type o ereditaria. L'amiloidosi da transtiretina con cardiomiopatia wild-type o ereditaria è una malattia cardiaca rara, in cui l'alterata funzione di una proteina del sangue, la transtiretina, causa la formazione di fibre (amiloide). Queste fibre si depositano tra le cellule cardiache e anche in altri sedi del corpo. I depositi a livello cardiaco sono

responsabili del fatto che la muscolatura cardiaca non riesca più a funzionare correttamente. Il muscolo cardiaco si ispessisce e si irrigidisce, per cui il cuore non può più contrarsi e rilassarsi uniformemente. Di conseguenza, il corpo non viene rifornito di sangue in modo ottimale.

La differenza tra il principio attivo tafamidis e tafamidis meglumina è l'aggiunta di meglumina. La meglumina forma un sale e ha la funzione di adeguare le dimensioni delle capsule.

Meccanismo d'azione

Il medicamento Vyndaqel, contenente il principio attivo tafamidis/tafamidis meglumina, impedisce che la proteina del sangue

(transtiretina) si rompa e formi fibre (amiloide), che possono depositarsi tra le cellule cardiache. In questo modo può essere rallentato il decorso della malattia.

Impiego

Vyndaqel deve essere prescritto esclusivamente da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti da amiloidosi o cardiomiopatia. La dose raccomandata di Vyndaqel è di 61 mg di tafamidis o 80 mg di tafamidis meglumina una volta al giorno

(equivalenti a 4 capsule da 20 mg). 61 mg di tafamidis hanno un effetto pari a quello di 80 mg di tafamidis meglumina. Tafamidis e tafamidis meglumina non possono essere scambiati in base al dosaggio.

Efficacia

L'efficacia di Vyndaqel è stata valutata in uno studio internazionale effettuato su 441 pazienti per 30 mesi. 177 pazienti hanno ricevuto un medicamento fittizio (placebo), 88 pazienti hanno ricevuto 20 mg di tafamidis e 176 pazienti hanno ricevuto 80 mg di tafamidis.

Dall'analisi dello studio è emerso che i pazienti trattati con il principio attivo tafamidis hanno dovuto essere ricoverati meno di frequente a causa di problemi cardiovascolari.

Nei pazienti trattati con tafamidis è diminuita anche la mortalità, rispetto ai pazienti che hanno ricevuto il placebo.

Dopo 6 mesi, nei pazienti trattati con tafamidis è stato osservato un effetto positivo, che è stato rilevato sulla base di un test del cammino e di un questionario. Questo effetto positivo è durato fino alla fine dello studio (mese 30).

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Vyndaqel non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria. Gli effetti indesiderati del medicamento nei pazienti trattati con Vyndaqel sono stati simili a quelli nei pazienti che hanno ricevuto il medicamento fittizio (placebo).

In altri studi su altre malattie, eseguiti con impiego del principio attivo tafamidis meglumina, sono stati osservati, tra gli altri, i seguenti effetti collaterali: diarrea, infezione delle vie urinarie (dolore o bruciore durante la minzione o frequente bisogno di

urinare), infezione vaginale nelle donne, mal di stomaco o dolore addominale. Questi dati si riferiscono solo alla dose di 80 mg di tafamidis meglumina. I dati relativi alla dose di tafamidis da 61 mg non sono disponibili, in quanto questa dose non è stata valutata nello studio.

Ulteriori misure precauzionali, possibili effetti indesiderati e rischi sono elencati nell'informazione professionale e nell'informazione destinata ai pazienti (foglietto illustrativo). Anche gli operatori sanitari possono fornire informazioni in merito.

Motivazione della decisione di omologazione

Lo studio ha dimostrato che Vyndaqel è ben tollerato, che la mortalità è diminuita e che sono stati necessari meno degenze ospedaliere per problemi cardiovascolari. Nel complesso, il rapporto beneficio/rischio per

Vyndaqel è stato valutato positivamente. Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera il medicamento Vyndaqel con il principio attivo tafamidis e tafamidis meglumina per l'indicazione di cui sopra.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per gli operatori sanitari:
[Informazione professionale di Vyndaqel®](#)

Informazione destinata ai pazienti
(foglietto illustrativo): [Informazione destinata ai pazienti di Vyndaqel®](#)

Gli operatori sanitari (medici, farmacisti e altro personale sanitario) sono a disposizione in caso di altre domande.

Lo stato di queste informazioni corrisponde alla data summenzionata. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Public Summary SwissPAR.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie.

Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita che possa compromettere la qualità, l'effetto o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.