

**Datum:** 30.12.2011  
**Kontakt:** Mag. Rudolf Schranz  
**Abteilung:** Institut Pharmakovigilanz  
**Tel. / Fax:** +43 (0) 505 55-36246, Durchwahl Fax 36207  
**E-Mail:** rudolf.schranz@ages.at  
**Unser Zeichen:** 16b-111219-23714-A-PHV

Mitteilung des Bundesamtes für Sicherheit im Gesundheitswesen über Maßnahmen zur Gewährleistung der Arzneimittelsicherheit:

## WICHTIGE INFORMATION ZU VYндаQEL® (TAFAMIDIS)

<b>Vyndaqel 20 mg Weichkapseln</b>	Zulassungsnummer: EU/1/11/717/001
<b>Zulassungsinhaber:</b>	Pfizer
<b>Wirksamer Bestandteil:</b>	Tafamidis

Vyndaqel ist indiziert zur Behandlung der Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1, um die Einschränkung der peripheren neurologischen Funktionsfähigkeit zu verzögern.

### ZUSAMMENFASSUNG

1. Es liegen eingeschränkte klinische Daten zur Sicherheit von Vyndaqel aufgrund der Seltenheit der Transthyretin-Amyloidose vor.
2. Um zusätzliche Daten zum Arzneimittel zu erhalten, werden Ärzte gebeten, Patienten, die Vyndaqel einnehmen, in das freiwillige „Transthyretin Amyloidosis Outcomes Survey“ (THAOS)-Register aufzunehmen mit dem Ziel, Langzeitdaten zu erheben.
3. Schwangerschaften, die unter Einnahme von Vyndaqel bzw. bei Partnerinnen von männlichen Patienten unter der Einnahme von Vyndaqel auftreten, sollen im „Tafamidis Enhanced Surveillance Pregnancy Outcomes“ (TESPO)-Programm gemeldet werden, einem Programm zur Erhebung von Informationen zum Ausgang einer Schwangerschaft.

Vyndaqel® enthält den Wirkstoff Tafamidis und wurde von der Europäischen Kommission am 16. November 2011 unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen zur Behandlung der Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1, um die Einschränkung der peripheren neurologischen Funktionsfähigkeit zu

verzögern. Unter außergewöhnlichen Umständen bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Erkrankung nicht möglich war, vollständige Informationen zu diesem Arzneimittel zu erhalten.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird alle neuen verfügbaren Informationen jährlich bewerten, und falls erforderlich wird die Fachinformation aktualisiert werden.

Aufgrund der Seltenheit der TTR-Amyloidose sind derzeit Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit für Vyndaqel nur begrenzte verfügbar. Insgesamt wurden in einer doppelblinden, kontrollierten Studie (Fx-005) mit Patienten mit V30M-Mutation und in zwei unverblindeten Studien zusammen 149 Patienten mit ATTR-PN eingeschlossen, von denen 127 Patienten eine oder mehrere Dosen Tafamidis Meglumin erhielten.

In diesen klinischen Studien waren Harnwegsinfekte und Durchfall sehr häufige Nebenwirkungen und Scheideninfektionen und Oberbauchschmerzen häufige Nebenwirkungen. Daten aus präklinischen Studien weisen auf potenzielle Risiken hinsichtlich Hepatotoxizität, Reproduktionstoxizität und Veränderungen der Schilddrüsenfunktion durch Vyndaqel, insbesondere für schwangere Frauen hin.

Es ist wichtig, die vorhandenen Daten zur Sicherheit durch die Erhebung von Daten nach Marktzulassung zu erweitern, um identifizierte und potenzielle Risiken weiter zu beschreiben und zu quantifizieren und um das Nutzen-Risiko-Profil während der routinemäßigen klinischen Anwendung bei der Behandlung von Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten auszuwerten.

Daher werden Sie darum gebeten, Ihre Patienten in zwei Programme einzuschließen:

- Das THAOS-Register, um Daten über Patienten mit TTR-Amyloidose zu erheben und um Sicherheitsdaten von Patienten zu erheben, die Vyndaqel einnehmen
- Das TESPO-Programm, um Sicherheitsdaten von Schwangerschaften, die sich unter Einnahme von Vyndaqel und bei Partnerinnen von männlichen Patienten unter der Einnahme von Vyndaqel einstellen

## **THAOS**

THAOS ist ein freiwilliges, internationales, multizentrisches Krankheitsregister, um Langzeitdaten bei Patienten mit familiärer oder Wildtyp-Amyloidose vom Transthyretin-Typ und für asymptotische Träger von TTR-Mutationen zu sammeln. Es ist offen für alle Patienten mit TTR-Amyloidose unabhängig vom Behandlungsstatus. Das Hauptziel des Registers ist das bessere Verständnis und die Charakterisierung des natürlichen Verlaufs der Erkrankung.

Durch die Datensammlung über Vyndaqel werden zudem die klinische Wirksamkeit und das Sicherheitsprofil von Vyndaqel dokumentiert und das Risiko-Nutzen-Profil in routinemäßiger, klinischer Praxis ausgewertet. Zusätzlich könnten die Daten verwendet werden, um neue Behandlungsrichtlinien und -empfehlungen zu entwickeln und um Ärzte über die Behandlung der Erkrankung zu informieren und zu schulen. THAOS unterstützt eine internationale Gemeinschaft medizinischer Experten bei der klinischen Behandlung der TTR-Amyloidose. THAOS wird von Pfizer unterstützt und vom wissenschaftlichen THAOS-Gremium beaufsichtigt, das sich aus internationalen Experten der TTR-Amyloidose zusammensetzt.

Behandler werden ersucht, an diesem Programm teilzunehmen. Weitere Informationen sind beim Zulassungsinhaber oder im Internet unter [www.thaos.net](http://www.thaos.net) erhältlich.

## **TESPO**

Das TESPO-Programm ist ein freiwilliges Mittel, um Sicherheitsdaten zu erheben (inklusive schwerwiegender Geburtsschäden und/oder Entwicklungsauffälligkeiten bei lebend geborenen Kindern) bei Patienten mit TTR-Amyloidose, die während oder innerhalb eines Monats vor einer Schwangerschaft mit Vyndaqel behandelt wurden. Obwohl Patienten, die Vyndaqel erhalten, geraten wird, eine Schwangerschaft zu vermeiden, wurde erkannt, dass Schwangerschaften eintreten können, da ungefähr 50 % der Patienten mit TTR-Amyloidose weiblich sind und die Erkrankung während der reproduktiven Jahre bei vielen Patientinnen auftreten kann.

Angehörige der Gesundheitsberufe, die Patienten betreuen, die während oder innerhalb eines Monats nach Vyndaqel-Exposition schwanger werden bzw. deren Partnerin schwanger wird, werden ersucht, den Zulassungsinhaber zu kontaktieren. Es werden grundlegende demografische Daten und Informationen zur Schwangerschaft inklusive Geburtstermin und Datum der Tafamidis-Exposition sowie – zum Zeitpunkt des geschätzten Entbindungstermins – weitere Daten aus Nachuntersuchungen über den Ausgang der Schwangerschaft gesammelt.

Die Teilnahme an THAOS und TESPO ist freiwillig und wird zur Gesamtheit der Sicherheitsinformation über Vyndaqel und zu den medizinischen Erkenntnissen über die TTR-Amyloidose beitragen. Aus THAOS und TESPO generierte Informationen werden verwendet, um die Pharmakovigilanz und Risikoauswertung/Risikomanagementaktivitäten im Bezug auf Vyndaqel nach Marktzulassung zu unterstützen.

### **Allgemeine Hinweise:**

- Bitte klären Sie Ihre Patienten über die wichtigen Risiken im Zusammenhang mit der Vyndaqel-Therapie und die geeigneten Vorsichtsmaßnahmen bei der Anwendung des Arzneimittels auf, insbesondere bezüglich der Vermeidung einer Schwangerschaft und der Notwendigkeit einer zuverlässigen Kontrazeption.
- Bitte weisen Sie Ihre Patienten darauf hin, dass sie Sie den behandelnden Arzt bei Nebenwirkungen kontaktieren. Der behandelnde Arzt bzw. der informierte Apotheker soll vermutete Nebenwirkungen von Vyndaqel berichten, da aufgrund der Seltenheit einer Transthyretin-Amyloidose nur begrenzte Erfahrungen zur klinischen Sicherheit vorliegen.

Bitte melden Sie alle unerwünschten Reaktionen im Zusammenhang mit Vyndaqel® dem Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen/AGES PharmMed.