



**Pfizer Polska Sp. z o.o.**  
ul. Postępu 17B  
02-676 Warszawa (Polska)

Listopad 2017 r.

Vyndaqel (tafamidis)  
Podmiot odpowiedzialny: Pfizer Limited  
Materiały edukacyjne dla lekarzy  
Referencje: Volume 9A Rule Governing Medicinal product in EU 3.10.1. Risk Communication (Wrzesień 2008)

**Komunikat do fachowych pracowników służby zdrowia w sprawie zbierania dodatkowych danych o produkcie leczniczym Vyndaqel (tafamidis) poprzez włączanie pacjentów do dobrowolnego Programu Oceny Skutków Amyloidozy Transtyretynowej THAOS i Programu Wzmoczonego Nadzoru nad Przebiegiem Ciąży i Rozwojem Noworodka TESPO**

Szanowna Pani Doktor /Szanowny Panie Doktorze,

**PODSUMOWANIE**

1. Ze względu na rzadkie występowanie amyloidozy transtyretynowej (TTR), dane kliniczne dotyczące bezpieczeństwa stosowania produktu Vyndaqel są ograniczone.
2. W celu uzyskania dodatkowych danych na temat produktu, zachęcamy Państwa do włączania pacjentów stosujących produkt Vyndaqel do dobrowolnego Programu Oceny Skutków Amyloidozy Transtyretynowej THAOS (ang. Transthyretin Amyloidosis Outcomes Survey) w celu długoterminowego zbierania danych.
3. Przypadki ciąży u pacjentek stosujących produkt Vyndaqel i u partnerek pacjentów stosujących produkt Vyndaqel należy zgłaszać do Programu Wzmoczonego Nadzoru nad Przebiegiem Ciąży i Rozwojem Noworodka TESPO (ang. Tafamidis Enhanced Surveillance Pregnancy Outcomes), zbierającego informacje o przebiegu ciąży i rozwoju noworodka.

Produkt Vyndaqel® (tafamidis) został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach w dniu 16 listopada 2011 roku przez Komisję Europejską „do leczenia amyloidozy transtyretynowej u dorosłych pacjentów z objawową polineuropatią stopnia 1. w celu opóźnienia wystąpienia obwodowych zaburzeń neurologicznych”.

Ze względu na rzadkie występowanie amyloidozy transtyretynowej (TTR), dane dotyczące skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania produktu Vyndaqel są ograniczone. W rzeczywistości, do jednego badania kontrolowanego metodą podwójnie ślepej próby (Fx-005) z udziałem pacjentów z mutacją V30M TTR i do dwóch otwartych badań włączono razem 149 pacjentów z transtyretynową polineuropatią amyloidową ATTR-PN, przy czym 127 z nich otrzymało co najmniej jedną dawkę megluminianu tafamidisu.

W badaniach klinicznych działania niepożądane, takie jak infekcja układu moczowego i biegunka, występowały bardzo często, a takie jak infekcja pochwy i ból nadbrzusza występowały często. Dane niekliniczne sugerują, że istnieje potencjalne ryzyko związane ze stosowaniem produktu Vyndaqel obejmujące hepatotoksyczność, toksyczność dla układu rozrodczego i zaburzenia czynności tarczycy zwłaszcza u kobiet ciężarnych.

Istotne jest, aby zebrać większą ilość danych dotyczących bezpieczeństwa, zbierając informacje z okresu po wprowadzeniu produktu do obrotu. Pozwoli to lepiej scharakteryzować oraz określić skalę

zidentyfikowanych i potencjalnych zagrożeń, a także ocenić stosunek korzyści do ryzyka w okresie normalnego klinicznego zastosowania produktu w leczeniu amyloidozy transtyretynowej (TTR) u dorosłych pacjentów.

Z tego względu zachęcamy Państwa do włączenia wszystkich swoich pacjentów do następujących programów:

- rejestru THAOS w celu zbierania danych od pacjentów chorych na amyloidozę transtyretynową (TTR) i danych dotyczących bezpieczeństwa stosowania u pacjentów stosujących produkt Vyndaqel.
- programu TESPO zbierającego dane dotyczące bezpieczeństwa stosowania u pacjentek w ciąży stosujących produkt Vyndaqel oraz u partnerek mężczyzn stosujących produkt Vyndaqel.

### **THAOS**

THAOS jest dobrowolnym, globalnym, wielośrodkowym rejestrem choroby prowadzonym w celu długoterminowego zbierania danych od pacjentów chorych na amyloidozę transtyretynową (TTR) dziedziczną lub typu dzikiego oraz od nosicieli wariantu TTR, u których choroba przebiega w sposób bezobjawowy.

Program ten jest otwarty dla wszystkich pacjentów chorych na amyloidozę transtyretynową (TTR) niezależnie od statusu leczenia. Głównym celem programu jest lepsze poznanie i charakterystyka naturalnego przebiegu choroby.

Dzięki zbieraniu danych dotyczących produktu Vyndaqel będzie możliwa dalsza ocena skuteczności klinicznej i profilu bezpieczeństwa stosowania produktu Vyndaqel oraz ocena profilu ryzyka do korzyści w normalnej praktyce klinicznej. Ponadto na podstawie zebranych informacji będzie można opracować nowe wytyczne terapeutyczne i zalecenia oraz informować i edukować lekarzy, jak postępować z tą chorobą. THAOS wspiera międzynarodową społeczność ekspertów medycznych w dziedzinie klinicznego postępowania z amyloidozą transtyretynową (TTR). Rejestr jest sponsorowany przez firmę Pfizer i nadzorowany przez Komisję Naukową THAOS, w skład której wchodzi eksperci ds. amyloidozy transtyretynowej (TTR) z wielu krajów.

Państwa placówka została uznana jako ośrodek leczący pacjentów chorych na amyloidozę transtyretynową (TTR). Prosimy o udział w tym programie i podzielenie się swoim doświadczeniem klinicznym, co pomoże nam uzyskać dodatkowe i istotne informacje na temat bezpieczeństwa i skuteczności klinicznej produktu Vyndaqel.

**Na stronie internetowej ([www.thaos.net](http://www.thaos.net)) przedstawiono dalsze szczegóły na temat udziału w rejestrze THAOS.**

### **TESPO**

Program TESPO jest dobrowolnym programem, mającym na celu zbieranie danych dotyczących bezpieczeństwa stosowania (także na temat poważnych wad wrodzonych i (lub) nieprawidłowości rozwojowych u dzieci urodzonych) u pacjentek chorych na amyloidozę transtyretynową (TTR), stosujących produkt Vyndaqel w czasie ciąży lub w ciągu 1 miesiąca przed zajściem w ciążę. Chociaż pacjentki stosujące produkt Vyndaqel otrzymują informację, że należy unikać zajścia w ciążę, zakłada się, że przypadki ciąży mogą wystąpić, ponieważ około 50% wszystkich pacjentów chorych na amyloidozę transtyretynową (TTR) stanowią kobiety, a choroba w wielu przypadkach może wystąpić u pacjentek w wieku rozrodczym.

Pracownicy opieki zdrowotnej opiekujący się **pacjentkami, które zaszły w ciążę lub pacjentami, których partnerki zaszły w ciążę, w okresie leczenia produktem Vyndaqel lub w ciągu 1 miesiąca przed ekspozycją na produkt Vyndaqel** są proszeni o skontaktowanie się z firmą Pfizer za pośrednictwem **systemu zgłaszania działań niepożądanych do miejscowego przedstawiciela firmy Pfizer (poniżej przedstawiono informacje kontaktowe)**. Zbierane będą podstawowe dane demograficzne i dane o ciąży, w tym przewidywana data porodu i daty dotyczące ekspozycji na tafamidis. W okresie przewidywanej daty porodu również zbierane będą dane uzupełniające oraz informacje dotyczące rozwiązania ciąży.

Udział w programach THAOS i TESPO jest dobrowolny. Państwa udział przyczyni się do uzyskania dalszych informacji na temat bezpieczeństwa stosowania produktu Vyndaqel i poszerzenia wiedzy medycznej na temat amyloidozy transtyretynowej (TTR). Informacje uzyskane dzięki programom THAOS i TESPO będą wykorzystane w nadzorze nad bezpieczeństwem farmakoterapii oraz w działaniach mających na celu ocenę ryzyka i zarządzanie ryzykiem w związku z leczeniem produktem Vyndaqel w okresie po wprowadzeniu produktu do obrotu.

### **Zgłaszanie działań niepożądanych**

Podejrzewane działania niepożądane należy zgłaszać do:

Departamentu Monitorowania Niepożądanych Działań Produktów Leczniczych  
Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych,  
Al. Jerozolimskie 181C  
02-222 Warszawa  
tel.: + 48 22 49 21 301  
faks: + 48 22 49 21 309  
e-mail: [ndl@urpl.gov.pl](mailto:ndl@urpl.gov.pl)

lub

przedstawiciela podmiotu odpowiedzialnego  
Pfizer Polska Sp. z o.o.  
Dział Monitorowania Bezpieczeństwa Leków  
ul. Postępu 17 B  
02-676 Warszawa  
tel.: +48 22 335-6326  
Fax Toll-Free: 00800112-4454  
e-mail: [POL.AEReporting@pfizer.com](mailto:POL.AEReporting@pfizer.com)

### **Kontakt**

W przypadku pytań dotyczących niniejszego pisma prosimy o kontakt z Działem Informacji Medycznej firmy Pfizer Polska Sp. z o.o. pod poniżej podanym adresem. W celu bardziej szczegółowego omówienia zagadnienia można również skontaktować się z pracownikiem Działu Medycznego.

tel.: + 48 22 33 56 100 (wew. 2)  
e-mail: [medical.info.pl@pfizer.com](mailto:medical.info.pl@pfizer.com)

Z poważaniem,



Dr n. med. Michał Kurzelewski  
Dyrektor Medyczny Pfizer Polska Sp. z o.o.