



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/498744/2024
EMA/H/C/006295

Wainzua (*eplontersen*)

Общ преглед на Wainzua и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Wainzua и за какво се използва?

Wainzua е лекарство, което се използва за лечение на нервно увреждане, причинено от наследствена транстиретин-медирана амилоидоза (ATTRv) — заболяване, при което абнормни белтъци, наречени амилоиди, се натрупват в тъканите на организма, включително около нервите.

Wainzua се използва при възрастни пациенти в първите два стадия на нервното увреждане (стадий 1, когато пациентът може да ходи без помощ, и стадий 2, когато пациентът все още може да ходи, но има нужда от помощ).

Wainzua съдържа активното вещество еплонтерсен (*eplontersen*).

Как се използва Wainzua?

Wainzua се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на пациенти с амилоидоза. Лечението трябва да започне възможно най-рано след началото на симптомите, за да се избегне по-нататъшно развитие на заболяването.

Лекарството се прилага веднъж месечно под формата на подкожна инжекция в корема, горната част на бедрото или горната част на ръката, като се използва предварително напълнена писалка. Пациентите или лицата, полагащи грижи за тях, могат сами да инжектират Wainzua, но първата инжекция трябва да се постави под ръководството на медицински специалист. По време на лечението с Wainzua пациентите трябва да приемат добавки от витамин А.

При пациенти, чието заболяване прогресира до полиневропатия от стадий 3, лекарят може да продължи лечението, ако ползите превишават рисковете.

За повече информация относно употребата на Wainzua вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Wainzua?

При пациенти с амилоидоза ATTRv един белтък, наречен транстиретин (TTR), който циркулира в кръвта, е дефектен и се разрушава лесно. Разрушеният белтък образува амилоидни отлагания в

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



тъканите и органите в тялото, включително около нервите, като пречи на нормалните им функции.

Активното вещество в Wainzua, еплонтерсен, е „антисенс олигонуклеотид“, много къс отрязък от синтетичен генетичен материал, предназначен да се свързва и да блокира генетичния материал на клетката, отговорна за производството на транстиретин. Това намалява производството на транстиретин, като по този начин намалява образуването на амилоиди и облекчава симптомите на амилоидозата ATTRv.

Какви ползи от Wainzua са установени в проучванията?

В едно основно проучване, обхващащо 144 пациенти с амилоидоза ATTRv с неврологично увреждане на етап 1 или етап 2, е показано, че Wainzua е по-ефективен от плацебо (сляпо лечение) за забавяне на нервното увреждане, причинено от заболяването.

Основните мерки за ефективност са промяната в нивата на TTR в кръвта на пациентите и промените в неврологичното увреждане и качеството на живот (измерени чрез стандартни скали, наречени съответно „mNIS+7“ и „Norfolk QoL-DN“) след 65 седмици на лечение. Данните от това проучване са сравнени с тези от групата на плацебо от друго проучване, проведено за Tegsedi (друго лекарство за амилоидоза ATTR).

В основното проучване е показано, че нивото на TTR в кръвта е намаляло с 80 % при пациентите, лекувани с Wainzua, и с 10 % при пациентите, приемащи плацебо. Резултатът по скалата mNIS+7, използван за оценка на увреждането на нервите, се влошава в по-малка степен при Wainzua (около 3 пункта), отколкото при плацебо (около 26 пункта). Качеството на живот, измерено по скалата Norfolk QoL-DN, се подобрява с около 6 пункта при пациентите, лекувани с Wainzua, в сравнение с влошаване от около 14 пункта при пациентите на плацебо.

Какви са рисковете, свързани с Wainzua?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Wainzua вижте листовката.

Най-честата нежелана реакция при Wainzua (която може да засегне повече от 9 на 10 души) са намалени нива на витамин А. Друга честа нежелана реакция при Wainzua (която може да засегне не повече от 1 на 10 души) е повръщане.

Защо Wainzua е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Wainzua значително намалява нивата на TTR в кръвта, забавя неврологичното увреждане и подобрява качеството на живот при пациенти с амилоидоза ATTRv с неврологично увреждане на етап 1 или етап 2. По отношение на безопасността нежеланите реакции обикновено са леки до умерени по интензитет и се считат за подлежащи на овладяване.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Wainzua са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Wainzua?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Wainzua, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Wainzua непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Wainzua, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Wainzua:

Допълнителна информация за Wainzua можете да намерите на уебсайта на Агенцията:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua