



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Přehled pro přípravek Wainzua a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Wainzua a k čemu se používá?

Wainzua je léčivý přípravek, který se používá k léčbě poškození nervů v důsledku hereditární transthyretinové amyloidózy, což je onemocnění, při němž se v tkáních v těle, a to i v okolí nervů, hromadí abnormální bílkoviny zvané amyloidy.

Přípravek Wainzua se používá u dospělých v prvních dvou stádiích poškození nervů (v 1. stadiu, kdy je pacient schopen bez pomoci chodit, a ve 2. stadiu, kdy pacient stále ještě dokáže chodit, ale pouze s pomocí).

Přípravek Wainzua obsahuje léčivou látku eplontersen.

Jak se přípravek Wainzua používá?

Výdej přípravku Wainzua je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a monitorovat lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s amyloidózou. Léčba by měla být zahájena co nejdříve po nástupu příznaků, aby se zabránilo dalšímu zhoršení onemocnění.

Přípravek se podává jednou měsíčně formou injekce pod kůži do břicha, horní části stehna nebo horní části paže, a to pomocí předplněného pera. Pacienti nebo jejich pečovatelé mohou přípravek Wainzua aplikovat sami, první injekce by však měla být podána pod vedením zdravotnického pracovníka. Během léčby přípravkem Wainzua by pacienti měli užívat doplňky vitamínu A.

U pacientů, jejichž onemocnění se zhorší na polyneuropatii ve 3. stadiu, může lékař v léčbě pokračovat za předpokladu, že přínosy převyšují rizika.

Více informací o používání přípravku Wainzua naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Wainzua působí?

U pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou je bílkovina zvaná transthyretin (TTR), která koluje v krvi, vadná a snadno se láme. Fragmenty bílkoviny vedou k usazování amyloidu v tkáních a orgánech v různých částech těla, a to i v okolí nervů, kde ovlivňují jejich normální funkce.

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



Léčivá látka v přípravku Wainzua, eplontersen, je tzv. antisense oligonukleotid, který je tvořen krátkým řetězcem uměle vytvořeného genetického materiálu, který byl vyvinut tak, aby se navázal na genetický materiál buněk odpovědný za produkci transthyretinu a blokoval jej. Tím, že se sníží produkce transthyretinu, se sníží i tvorba amyloidů a dojde ke zmírnění příznaků hereditární transthyretinové amyloidózy.

Jaké přínosy přípravku Wainzua byly prokázány v průběhu studií?

V jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 144 pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou s poškozením nervů v 1. nebo 2. stadiu, bylo prokázáno, že přípravek Wainzua je z hlediska zpomalení poškození nervů způsobeného tímto onemocněním účinnější než placebo (neúčinný přípravek).

Hlavními měřítky účinnosti byly změna hladiny TTR v krvi pacientů a změny v poškození nervů a kvalitě života (posuzované pomocí standardních stupnic zvaných „mNIS+7“ a „Norfolk QoL-DN“) po 65 týdnech léčby. Údaje z této studie byly porovnány s údaji zaznamenanými u skupiny, které bylo podáváno placebo, v rámci jiné studie provedené pro přípravek Tegsedi (jiný léčivý přípravek k léčbě transthyretinové amyloidózy).

Z hlavní studie vyplynulo, že hladina TTR v krvi se u pacientů léčených přípravkem Wainzua snížila o 80 % a u pacientů, kterým bylo podáváno placebo, o 10 %. Skóre mNIS+7, které se používá k posouzení poškození nervů, se při léčbě přípravkem Wainzua zhoršilo v menší míře (přibližně o 3 body) než při podávání placeba (přibližně o 26 bodů). Kvalita života posuzovaná pomocí skóre na stupnici Norfolk QoL-DN se u pacientů léčených přípravkem Wainzua zlepšila přibližně o 6 bodů, zatímco ve skupině, které bylo podáváno placebo, se zhoršila přibližně o 14 bodů.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Wainzua?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Wainzua je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Wainzua (který může postihnout více než 9 osob z 10) je pokles hladiny vitamínu A. Dalším častým nežádoucím účinkem přípravku Wainzua (který může postihnout až 1 osobu z 10) je zvracení.

Na základě čeho byl přípravek Wainzua registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Wainzua významně snižuje hladinu TTR v krvi, zpomaluje poškození nervů a zlepšuje kvalitu života u pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou s poškozením nervů v 1. nebo 2. stadiu. Pokud jde o bezpečnost, nežádoucí účinky jsou obvykle mírné až středně závažné a považují se za zvladatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Wainzua převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Wainzua?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Wainzua, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Wainzua průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Wainzua jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Wainzua

Další informace o přípravku Wainzua jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua.