



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

En oversigt over Wainzua, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Wainzua, og hvad anvendes det til?

Wainzua er et lægemiddel til behandling af beskadigelse af nerverne som følge af den arvelige sygdom transthyretin-amyloidose (ATTR-amyloidose), hvor et protein kaldet amyloid ophobes i vævene rundt om i kroppen, herunder rundt om nerverne.

Wainzua anvendes hos voksne, der har nervebeskadigelse af grad 1 (patienten kan gå uden hjælp) og grad 2 (patienten kan stadig gå, men har brug for hjælp).

Wainzua indeholder det aktive stof eplontersen.

Hvordan anvendes Wainzua?

Wainzua udleveres kun på recept, og behandlingen bør indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af patienter med amyloidose. Behandlingen bør indledes så tidligt som muligt, efter at symptomerne begynder for at undgå, at sygdommen udvikler sig yderligere.

Lægemidlet gives én gang om måneden som en indsprøjtning under huden på maven, låret eller overarmen ved hjælp af en fyldt pen. Patienten eller dennes omsorgsperson kan selv injicere Wainzua, men den første indsprøjtning bør ske under vejledning af sundhedspersonale. Patienterne bør tage A-vitamintilskud under behandlingen med Wainzua.

For patienter, hvis sygdom udvikler sig til polyneuropati i stadie 3, kan lægen fortsætte behandlingen, hvis fordelene opvejer risiciene.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Wainzua, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Wainzua?

Hos patienter med ATTRv-amyloidose er proteinet transthyretin (TTR), som cirkulerer i blodet, defekt og ødelægges let. Det ødelagte protein danner amyloid, som deponeres i væv og organer rundt om i kroppen, herunder også rundt om nerverne, hvor det forstyrrer deres normale funktion.

Det aktive stof i Wainzua, eplontersen, er et "antisense-oligonukleotid", et kort stykke syntetisk genetisk materiale, der er designet til at binde sig til og blokere det genetiske materiale i den celle, der

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



er ansvarlig for produktionen af transthyretin. Dermed reduceres dannelsen af transthyretin, hvilket reducerer dannelsen af amyloider og lindrer symptomerne på ATTR-amyloidose.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Wainzua?

I et hovedstudie, der omfattede 144 patienter med ATTR-amyloidose med skader i stadie 1 eller 2, viste Wainzua sig at være mere effektivt end placebo (en uvirksom behandling) til at forsinke den nerveskade, sygdommen forårsager.

Virkningen blev hovedsagelig bedømt på ændringen i patienternes niveau af TTR i blodet og nervebeskadigelse og livskvalitet (målt ved anvendelse af standardskalaerne "mNIS+7" og "Norfolk QoL-DN") efter 65 ugers behandling. Data fra dette studie blev sammenlignet med data fra placebogruppen fra et andet studie, der blev udført for Tegsedi (et andet lægemiddel mod ATTR-amyloidose).

Hovedstudiet viste, at koncentrationen af TTR i blodet faldt med 80 % hos de patienter, der blev behandlet med Wainzua, og med 10 % hos de patienter, der fik placebo. Scoren på mNIS+7-skalaen, der anvendes til at bedømme nervebeskadigelse, forværredes i mindre grad med Wainzua (ca. 3 point) end med placebo (ca. 26 point). Livskvaliteten målt ved hjælp af scoren på Norfolk QoL-DN-skalaen blev forbedret med ca. 6 point hos de patienter, der blev behandlet med Wainzua, sammenlignet med en forværring på ca. 14 point hos dem, der fik placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Wainzua?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Wainzua fremgår af indlægssedlen.

Den mest almindelige bivirkning ved Wainzua (som kan forekomme hos mere end 9 ud af 10 personer) er nedsat indhold af A-vitamin. En anden almindelig bivirkning ved Wainzua (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er opkastning.

Hvorfor er Wainzua godkendt i EU?

Det er påvist, at Wainzua nedsætter indholdet af TTR i blodet væsentligt, bremser nervebeskadigelse og forbedrer livskvaliteten hos patienter med ATTRv-amyloidose med nerveskader i stadie 1 eller stadie 2. Hvad sikkerheden angår er bivirkningerne normalt milde til moderate i intensitet og anses for at være håndterbare.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Wainzua opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Wainzua anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Wainzua anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Wainzua løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Wainzua vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Wainzua

Yderligere information om Wainzua findes på agenturets websted under:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua