



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*Eplontersen*)

Übersicht über Wainzua und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Wainzua und wofür wird es angewendet?

Wainzua ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung von Nervenschäden angewendet wird, die durch eine vererbte Transthyretin-Amyloidose (ATTRv) verursacht werden. Dabei handelt es sich um eine Erkrankung, bei der sich abnormale Proteine, die als „Amyloide“ bezeichnet werden, im Körpergewebe, einschließlich im Bereich der Nerven, ansammeln.

Wainzua wird bei Erwachsenen in den ersten zwei Stadien der Erkrankung (Stadium 1, in dem der Patient ohne Hilfe gehen kann, sowie Stadium 2, in dem der Patient immer noch gehfähig ist, aber Hilfe benötigt) angewendet.

Wainzua enthält den Wirkstoff Eplontersen.

Wie wird Wainzua angewendet?

Wainzua ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von Patienten mit Amyloidose erfahrenen Arzt eingeleitet und überwacht werden. Die Behandlung sollte so früh wie möglich nach dem Einsetzen der Symptome beginnen, um ein weiteres Fortschreiten der Erkrankung zu verhindern.

Das Arzneimittel wird einmal monatlich mit einem Fertipen als Injektion unter die Haut in den Bauch, Oberschenkel oder Oberarm verabreicht. Wainzua kann von den Patienten selbst oder deren Betreuungspersonen injiziert werden; die erste Injektion sollte jedoch unter Anleitung von medizinischem Fachpersonal erfolgen. Patienten, die mit Wainzua behandelt werden, wird eine Vitamin-A-Supplementierung empfohlen.

Bei Patienten, deren Erkrankung zu Polyneuropathie Stadium 3 fortschreitet, kann der Arzt die Behandlung fortsetzen, wenn der Nutzen gegenüber den Risiken überwiegt.

Weitere Informationen zur Anwendung von Wainzua entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Wainzua?

Bei Patienten mit ATTRv-Amyloidose ist ein im Blut zirkulierendes Protein namens Transthyretin (TTR) defekt und zerfällt leicht. Das zerfallene Protein bildet Amyloid-Ablagerungen im Körpergewebe und in den Organen, einschließlich im Bereich der Nerven, wo es deren normale Funktion behindert.

Der Wirkstoff in Wainzua, Eplontersen, ist ein „Antisense-Oligonukleotid“, ein sehr kurzes Stück synthetischen Genmaterials, das entwickelt wurde, um an das für die Produktion von Transthyretin zuständige Genmaterial der Zelle zu binden und es zu blockieren. Dadurch wird die Produktion von Transthyretin verringert und somit die Bildung von Amyloiden reduziert, was wiederum die Symptome der ATTRv-Amyloidose lindert.

Welchen Nutzen hat Wainzua in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie, an der 144 von ATTRv-Amyloidose betroffene Patienten mit Nervenschäden im Stadium 1 oder 2 teilnahmen, wurde gezeigt, dass Wainzua wirksamer als Placebo (eine Scheinbehandlung) die durch die Erkrankung verursachte Nervenschädigung verlangsamt.

Die Hauptindikatoren für die Wirksamkeit waren die Veränderung der TTR-Konzentration im Blut der Patienten sowie Veränderungen der Nervenfunktion und der Lebensqualität (gemessen anhand von Standardskalen, die als „mNIS+7“ bzw. „Norfolk QoL-DN“ bezeichnet werden) nach 65-wöchiger Behandlung. Die Daten aus dieser Studie wurden mit den Daten für die Placebogruppe aus einer anderen Studie verglichen, die für Tegsedi (ein anderes Arzneimittel gegen ATTR-Amyloidose) durchgeführt wurde.

Die Hauptstudie zeigte, dass die TTR-Konzentration im Blut bei mit Wainzua behandelten Patienten um 80 % und bei Patienten, die Placebo erhielten, um 10 % zurückging. Der für die Beurteilung der Nervenschädigung verwendete mNIS+7-Score verschlechterte sich bei Wainzua (ca. 3 Punkte) in geringerem Maße als bei Placebo (ca. 26 Punkte). Die anhand des Norfolk QoL-DN-Wertes gemessene Lebensqualität verbesserte sich bei den mit Wainzua behandelten Patienten um etwa 6 Punkte, verglichen mit einer Verschlechterung um etwa 14 Punkte bei den Patienten, die Placebo erhielten.

Welche Risiken sind mit Wainzua verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Wainzua ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Eine sehr häufige Nebenwirkung von Wainzua (die mehr als 9 von 10 Behandelten betreffen kann) ist ein verminderter Vitamin-A-Spiegel. Eine weitere häufige Nebenwirkung von Wainzua (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen kann) ist Erbrechen.

Warum wurde Wainzua in der EU zugelassen?

Es wurde gezeigt, dass Wainzua die TTR-Konzentration im Blut signifikant reduziert, die Nervenschädigung verlangsamt und die Lebensqualität bei Patienten mit ATTRv-Amyloidose mit Nervenschäden im Stadium 1 oder 2 verbessert. In Bezug auf die Sicherheit ist festzustellen, dass die Nebenwirkungen in der Regel von leichter bis mittelschwerer Intensität sind und als beherrschbar angesehen werden.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Wainzua gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Wainzua ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Wainzua, die von Angehörigen der Gesundheitsberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Wainzua kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Wainzua werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Wainzua

Weitere Informationen über Wainzua finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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