



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/161242/2019
EMA/H/C/004538

Waylivra (*volanesorsen*)

Общ преглед на Waylivra и защо е разрешен за употреба в ЕС

Какво представлява Waylivra и за какво се използва?

Waylivra е лекарство, което се използва за лечение на фамилен синдром на хиломикронемия (FCS) — генетично заболяване, което предизвиква високи нива на мазнините, наречени триглицериди, в кръвта. Излишните мазнини се натрупват в различни части на тялото и това води до симптоми, включващи абдоминална болка (болки в корема), отлагания на мазнини под кожата и панкреатит (възпаление на панкреаса).

В комбинация с нискокалоричен хранителен режим, Waylivra се използва за намаляване на нивата на триглицеридите в кръвта при пациенти с FCS, който е потвърден чрез генетични тестове. Waylivra се използва само при пациенти, които не са се повлияли от други лекарства за намаляване на триглицеридите и които са изложени на висок риск от развитие на панкреатит.

FCS се счита за рядко заболяване и Waylivra е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 19 февруари 2014 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите тук: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra съдържа активното вещество воланесорсен (*volanesorsen*).

Как се използва Waylivra?

Waylivra се предлага под формата на разтвор за подкожно инжектиране. След подходящо обучение пациентите или болногледачите могат да поставят инжекциите.

В началото на лечението Waylivra се прилага веднъж седмично. След 3 месеца пациентите, при които има достатъчно намаляване на нивата на триглицеридите в кръвта, могат да продължат с прием на лекарството веднъж на 2 седмици. Честотата на инжекциите се коригира отново след 6 и 9 месеца в зависимост от действието на лекарството.

Тъй като Waylivra може да понижи нивата на тромбоцитите в кръвта (клетки, които помагат за кръвосъсирването), нивата на тромбоцитите в кръвта трябва да се проверяват редовно, в допълнение към редовните проверки на триглицеридите, за да се види как действа лекарството. В зависимост от резултатите може да се коригира честотата на инжекциите, а лечението може да се прекъсне временно или да се спре.

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



Waylivra се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се наблюдава от лекар с опит в лечението на FCS. За повече информация относно употребата на Waylivra вижте листовката или се свържете с Вашия лекар или фармацевт.

Как действа Waylivra?

Активното вещество в Waylivra (воланесорсен) е „антисензорен олигонуклеотид“ — много къса част от синтетична РНК (вид генетичен материал). Воланесорсен е създаден с цел да блокира производството на определен протеин, който забавя разграждането на мазнините, наречен аполипопротеин С-III. Като блокира производството на този протеин, лекарството намалява нивото на триглицеридите в кръвта и в резултат от това — натрупването на мазнини в организма, с което се очаква да се намали рискът от панкреатит.

Какви ползи от Waylivra са установени в проучванията?

Waylivra е ефективен за намаляване на триглицеридите в кръвта в проучване при 67 пациенти с FCS. След 3 месеца намаляването на нивата на триглицеридите е средно 77 % при пациентите, приемащи Waylivra, в сравнение с 18 % при пациентите, приемащи плацебо (сляпо лечение). При всички пациенти в проучването приемът на Waylivra или плацебо е в допълнение към нискокалоричен хранителен режим.

Какви са рисковете, свързани с Waylivra?

Най-честите нежелани реакции при Waylivra са понижени нива на тромбоцитите (които може да засегнат 4 на 10 души) и реакции на мястото на инжектиране, например болка, подуване, сърбеж или поява на синини (които може да засегнат 8 на 10 души).

Waylivra не трябва да се прилага при пациенти с хронична тромбоцитопения или тромбоцитопения с неизяснена причина (ниски нива на тромбоцитите в кръвта).

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

Защо Waylivra е разрешен за употреба в ЕС?

Waylivra ефективно намалява нивата на триглицеридите и се очаква на намали риска от панкреатит при пациенти с FCS. Основният риск при това лекарство е тромбоцитопения, която може да причини кървене, когато е в тежка форма. Поради това пациентите трябва да се проследяват, а честотата на инжекциите — да се коригира, ако е необходимо.

Европейската агенция по лекарствата реши, че за пациентите, които са изложени на висок риск от панкреатит и при които с други лекарства и нискокалоричен хранителен режим не са постигнали достатъчно добри резултати, ползите от Waylivra са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Waylivra е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“. Това означава, че се очакват допълнителни данни за лекарството, които фирмата се задължава да предостави. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Waylivra?

Тъй като Waylivra е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“, фирмата, която предлага Waylivra, ще предостави резултатите от проучване въз основа на регистър на

пациентите, за да се разгледа как се провеждат на практика кръвните тестове и корекциите в честотата на инжекциите и доколко те са ефективни за предотвратяване на тромбоцитопения и кървене.

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

Фирмата, която предлага Waylivra, ще предостави на пациентите и медицинските специалисти обучителни материали с информация за рисковете от тромбоцитопения и кървене по време на лечението и колко е важно редовно да се проверяват нивата на тромбоцити на пациентите.

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

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

Допълнителна информация за Waylivra:

Допълнителна информация за Waylivra можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.