



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsenum*)

Přehled pro přípravek Waylivra a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Waylivra a k čemu se používá?

Přípravek Waylivra je léčivý přípravek, který se používá k léčbě syndromu familiární chylomikronemie, což je genetické onemocnění, které zapříčiňuje vysoké hladiny tuků zvaných triglyceridy v krvi. Přebytný tuk se hromadí v různých částech těla a vede k příznakům, jako jsou bolesti břicha, vrstvy tuku pod kůží a pankreatitida (zánět slinivky břišní).

Přípravek Waylivra se užívá souběžně s dietou s nízkým příjmem tuků ke snížení krevních hladin triglyceridů u pacientů se syndromem familiární chylomikronemie potvrzeným prostřednictvím genetického vyšetření. Podává se pouze pacientům, u nichž nebyla účinná léčba jinými léčivými přípravky ke snížení hladin triglyceridů a kterým hrozí vysoké riziko pankreatitidy.

Syndrom familiární chylomikronemie je vzácné onemocnění a přípravek Waylivra byl stanoven dne 19. února 2014 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Přípravek Waylivra obsahuje léčivou látku volanesorsen.

Jak se přípravek Waylivra používá?

Přípravek Waylivra je k dispozici ve formě injekčního roztoku k podání pod kůží, který po patřičném proškolení mohou aplikovat sami pacienti nebo osoby, které je ošetřují.

Na začátku léčby se přípravek Waylivra podává jednou týdně. Po 3 měsících mohou pacienti, u nichž došlo k dostatečnému snížení hladiny triglyceridů, pokračovat v užívání přípravku jednou za 2 týdny. Četnost podávání injekcí se znovu upraví po 6 a 9 měsících podle toho, jak dobře přípravek účinkuje.

Jelikož přípravek Waylivra může snižovat hladiny krevních destiček (složek, které napomáhají srážení krve), je třeba k posouzení účinnosti přípravku vedle pravidelných vyšetření triglyceridů pravidelně sledovat také hladiny krevních destiček pacienta. V závislosti na výsledcích je možné upravit četnost podávání injekcí nebo přerušit či ukončit léčbu.

Výdej léčivého přípravku Waylivra je vázán na lékařský předpis a na léčbu by měl dohlížet lékař, který má zkušenosti s léčbou syndromu familiární chylomikronemie. Více informací o používání přípravku Waylivra naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

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



Jak přípravek Waylivra působí?

Léčivá látka v přípravku Waylivra, volanesorsen, je „antisense oligonukleotid“, velmi krátký kus syntetické RNA (typ genetického materiálu). Byl vytvořen tak, aby blokoval tvorbu proteinu zvaného apolipoprotein C-III, který zpomaluje štěpení tuků. Blokováním tvorby tohoto proteinu léčivý přípravek snižuje hladinu triglyceridů v krvi a tím i hromadění tuku v těle, což by podle všeho mělo snížit riziko pankreatitidy.

Jaké přínosy přípravku Waylivra byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Waylivra byl účinný při snižování hladiny triglyceridů v krvi ve studii, do které bylo zařazeno 67 pacientů se syndromem familiární chylomikronemie. Po 3 měsících bylo u pacientů užívajících přípravek Waylivra zaznamenáno v průměru 77% snížení hladiny triglyceridů, zatímco u pacientů užívajících placebo (neúčinný přípravek) bylo zaznamenáno v průměru 18% snížení. Všichni pacienti zařazení do studie kromě užívání přípravku Waylivra nebo placebo dodržovali také dietu s nízkým příjmem tuků.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Waylivra?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Waylivra jsou snížené hladiny krevních destiček (které mohou postihnout 4 osoby z 10) a reakce v místě vpichu injekce, jako je bolest, otok, svědění nebo tvorba modřin (které mohou postihnout 8 osob z 10).

Přípravek Waylivra se nesmí používat u pacientů, kteří trpí dlouhodobou nebo neobjasněnou trombocytopenií (nízkými hladinami krevních destiček).

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

Na základě čeho byl přípravek Waylivra registrován v EU?

Přípravek Waylivra účinně snižuje hladiny triglyceridů a podle všeho by měl snižovat riziko pankreatitidy u pacientů se syndromem familiární chylomikronemie. Hlavním rizikem tohoto přípravku je trombocytopenie, která může, je-li závažného charakteru, vést ke krvácení. Pacienti proto musí být pečlivě sledováni a v případě potřeby je nutné upravit četnost podávání injekcí.

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že u pacientů s vysokým rizikem pankreatitidy, u kterých dostatečně dobře neúčinkují jiné léčivé přípravky a dodržování diety s nízkým příjmem tuků, přínosy přípravku Waylivra převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravku Waylivra byla udělena „podmíněná registrace“. Znamená to, že se očekávají další poznatky o tomto léčivém přípravku, které je společnost povinna poskytnout. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Waylivra nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravku Waylivra byla udělena podmíněná registrace, společnost, která přípravek Waylivra dodává na trh, předloží výsledky studie vycházející z registru pacientů s cílem prozkoumat, jak jsou v praxi prováděna vyšetření krve a úpravy četnosti podávání injekcí a jak jsou tato opatření účinná při zabraňování výskytu trombocytopenie a krvácení.

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

Společnost, která přípravek Waylivra dodává na trh, poskytne edukační materiály pro pacienty a zdravotnické pracovníky s informacemi o riziku trombocytopenie a krvácení při léčbě tímto přípravkem a o důležitosti pravidelných kontrol hladin krevních destiček u pacientů.

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

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Waylivra průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Waylivra jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Waylivra

Další informace k přípravku Waylivra jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.