



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsen*)

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

Hvad er Waylivra, og hvad anvendes det til?

Waylivra er et lægemiddel til behandling af familiært chylomicronæmisyndrom (FCS), en genetisk tilstand, der medfører forhøjet indhold af en type fedtstof i blodet kaldet triglycerid. Overskydende fedt ophobes i forskellige dele af kroppen og giver symptomer såsom mavesmerter, fedtdepoter under huden og bugspytkirtelbetændelse.

Waylivra anvendes sammen med fedtfattig kost til at reducere triglyceridindholdet i blodet hos patienter med FCS, som er blevet konstateret ved en gentest. Det gives kun til patienter, hos hvem andre lægemidler til reduktion af triglyceridindholdet i blodet ikke har virket, og som har en høj risiko for at udvikle bugspytkirtelbetændelse.

FCS er sjælden, og Waylivra blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 19. februar 2014. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra indeholder det aktive stof volanesorsen.

Hvordan anvendes Waylivra?

Waylivra fås som en opløsning til injektion under huden, som patienterne selv eller deres plejere kan indsprøjte efter forudgående oplæring.

Ved behandlingens start gives Waylivra én gang om ugen. Efter 3 måneder kan patienter, hos hvem triglyceridindholdet i blodet er tilstrækkeligt reduceret, fortsat modtage lægemidlet én gang hver anden uge. Hyppigheden af injektioner justeres igen efter 6 og 9 måneder afhængigt af, hvor godt lægemidlet virker.

Da Waylivra kan reducere antallet af blodplader (komponenter, der hjælper blodet med at størkne), bør patienternes blodpladetal kontrolleres regelmæssigt, ud over de regelmæssige triglyceridkontroller, for at se, hvor godt lægemidlet virker. Afhængigt af resultaterne kan hyppigheden af injektionerne justeres, eller behandlingen kan afbrydes eller indstilles.

Waylivra udleveres kun efter recept, og behandlingen bør overvåges af en læge med erfaring i behandling af FCS. For mere information om brug af Waylivra, se indlægssedlen, eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.

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



Hvordan virker Waylivra?

Det aktive stof i Waylivra, volanesorsen er et "antisense-oligonukleotid", et meget kort stykke syntetisk RNA (en type genetisk materiale). Det er udformet således, at det blokerer for produktionen af et protein kaldet apolipoprotein C-III, der bremser nedbrydningen af fedt. Ved at blokere for produktionen af dette protein reducerer lægemidlet triglyceridindholdet i blodet og dermed fedtphobningen i kroppen, hvilket forventes at mindske risikoen for bugspytkirtelbetændelse.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Waylivra?

Af et studie, der omfattede 67 patienter med FCS, fremgik det, at Waylivra var effektivt til at reducere triglyceridindholdet i blodet. Efter 3 måneder oplevede de patienter, der fik Waylivra, en gennemsnitlig reduktion på 77 % af triglyceridindholdet sammenlignet med en gennemsnitlig reduktion på 18 % hos de patienter, der fik placebo (en uvirksom behandling). Alle patienter, der deltog i studiet, blev sat på fedtfattig kost sideløbende med, at de fik Waylivra eller placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Waylivra?

De hyppigste bivirkninger ved Waylivra er reducerede blodpladetal (som kan forekomme hos 4 ud af 10 personer) og reaktioner på injektionsstedet som f.eks. smerte, hævelse, kløe eller blå mærker (som kan forekomme hos 8 ud af 10 personer).

Waylivra må ikke anvendes til patienter med længerevarende eller uforklarlig trombocytopeni (lave blodpladetal).

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

Hvorfor blev Waylivra godkendt i EU?

Waylivra reducerer triglyceridindholdet i blodet og forventes at mindske risikoen for bugspytkirtelbetændelse hos patienter med FCS. Den største risiko ved dette lægemiddel er trombocytopeni, der i svære tilfælde kan føre til blødning. Patienterne skal derfor overvåges nøje, og hyppigheden af injektionerne skal om nødvendigt justeres.

Hvad angår patienter med høj risiko for bugspytkirtelbetændelse, for hvem andre lægemidler og fedtfattig kost ikke har fungeret godt nok, konkluderede Det Europæiske Lægemiddelagentur, at fordelene ved Waylivra opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Waylivra har fået en "betinget godkendelse". Det betyder, at der er flere videnskabelige beviser på vej om lægemidlet, som virksomheden er blevet bedt om at fremlægge. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Waylivra?

Da Waylivra har fået en betinget godkendelse, vil virksomheden, der markedsfører Waylivra, fremlægge resultaterne af et studie, der er baseret på et patientregister, med henblik på at undersøge, hvordan blodtest og justeringer af hyppigheden af injektioner foretages i praksis, og hvor effektive de er i henseende til at forebygge trombocytopeni og blødning.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Waylivra?

Virksomheden, der markedsfører Waylivra, vil udlevere oplysningsmateriale til patienter og sundhedspersonale med information om risikoen for trombocytopeni og blødning som følge af behandlingen og vigtigheden af regelmæssigt at kontrollere patienternes blodpladetal.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Waylivra.

Som for alle lægemidler er data vedrørende brug af Waylivra løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Waylivra vurderes omhyggeligt, og der tages de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Waylivra

Yderligere information om Waylivra findes på agenturets websted under:

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