



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*Volanesorsen*)

Übersicht über Waylivra und Begründung für die Zulassung in der EU

Was ist Waylivra und wofür wird es angewendet?

Waylivra ist ein Arzneimittel zur Behandlung familiärer Chylomikronämie (FC), einer erblichen Erkrankung, bei der bestimmte Fette, die sogenannten Triglyzeride, in abnorm hoher Konzentration im Blut vorhanden sind. Überschüssiges Fett sammelt sich in verschiedenen Teilen des Körpers an und führt zu Symptomen wie Bauchschmerzen, Fettablagerungen unter der Haut und Pankreatitis (Bauchspeicheldrüsenentzündung).

Waylivra wird zusammen mit einer fettarmen Diät angewendet, um die Triglyzerid-Konzentration im Blut bei Patienten mit durch genetische Tests bestätigter FC zu vermindern. Es wird nur bei Patienten angewendet, bei denen andere Arzneimittel zur Reduzierung der Triglyzeride nicht gewirkt haben und die ein hohes Risiko für Pankreatitis aufweisen.

FC ist „selten“, und Waylivra wurde am 19. Februar 2014 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra enthält den Wirkstoff Volanesorsen.

Wie wird Waylivra angewendet?

Waylivra ist als Injektionslösung zur Anwendung unter die Haut erhältlich; es kann nach entsprechender Einweisung von den Patienten selbst oder deren Betreuungspersonen injiziert werden.

Zu Beginn der Behandlung wird Waylivra einmal wöchentlich angewendet. Nach 3 Monaten können Patienten, bei denen die Triglyzerid-Konzentration ausreichend vermindert wurde, das Arzneimittel weiterhin alle 2 Wochen anwenden. Je nachdem, wie gut das Arzneimittel wirkt, wird die Häufigkeit der Injektionen nach 6 und 9 Monaten erneut angepasst.

Da Waylivra die Menge der Blutplättchen (Blutbestandteile, die an der Blutgerinnung beteiligt sind) reduzieren kann, sollten zusätzlich zu den Triglyzeriden die Blutplättchenspiegel der Patienten regelmäßig untersucht werden, um festzustellen, wie gut das Arzneimittel wirkt. Je nach Ergebnis kann die Häufigkeit der Injektionen angepasst oder die Behandlung unterbrochen oder abgesetzt werden.

Waylivra ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem Arzt überwacht werden, der Erfahrung mit der Behandlung von FC hat. Weitere Informationen zur

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



Anwendung von Waylivra entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Waylivra?

Der Wirkstoff in Waylivra, Volanesorsen, ist ein „Antisense-Oligonukleotid“, ein sehr kurzes Stück synthetischer RNA (eine Art genetisches Material). Es wurde entwickelt, um die Bildung eines Proteins mit der Bezeichnung Apolipoprotein C-III, das den Abbau von Fetten verlangsamt, zu hemmen. Indem das Arzneimittel die Bildung dieses Proteins hemmt, reduziert es die Triglyzerid-Konzentration im Blut und folglich die Fettansammlung im Körper, wodurch das Risiko für Pankreatitis gemindert werden soll.

Welchen Nutzen hat Waylivra in den Studien gezeigt?

In einer Studie mit 67 Patienten mit FC erwies sich Waylivra bei der Verminderung der Triglyzeride als wirksam. Nach 3 Monaten wiesen die Patienten, die Waylivra erhielten, eine verminderte Triglyzerid-Konzentration von durchschnittlich 77 % auf, im Vergleich zu durchschnittlich 18 % bei den Patienten, die Placebo (eine Scheinbehandlung) erhielten. Alle Patienten in der Studie erhielten zusätzlich zu Waylivra oder Placebo eine fettarme Diät.

Welche Risiken sind mit Waylivra verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Waylivra sind eine verminderte Anzahl der Blutplättchen (die 4 von 10 Personen betreffen können) und Reaktionen an der Injektionsstelle wie Schmerzen, Schwellung, Juckreiz oder Bluterguss (die 8 von 10 Personen betreffen können).

Waylivra darf nicht bei Patienten angewendet werden, die an einer chronischen oder ursächlich unklaren Thrombozytopenie (niedrige Anzahl von Blutplättchen) leiden.

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

Warum wurde Waylivra in der EU zugelassen?

Waylivra vermindert die Triglyzerid-Konzentration wirksam und reduziert bei Patienten mit FC voraussichtlich das Risiko für Pankreatitis. Das Hauptrisiko dieses Arzneimittels ist Thrombozytopenie, die, wenn sie schwerwiegend ist, zu Blutungen führen kann. Die Patienten sind daher engmaschig zu überwachen und die Häufigkeit der Injektionen ist bei Bedarf anzupassen.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass bei Patienten, die ein hohes Risiko für Pankreatitis aufweisen und bei denen andere Arzneimittel und eine fettarme Diät nicht ausreichend gewirkt haben, der Nutzen von Waylivra gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Waylivra wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass weitere Nachweise für das Arzneimittel erwartet werden, die das Unternehmen bereitstellen muss. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Übersicht wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Waylivra noch erwartet?

Da Waylivra unter besonderen Bedingungen zugelassen wurde, wird das Unternehmen, das Waylivra in Verkehr bringt, auf der Grundlage eines Patientenregisters Ergebnisse einer Studie vorlegen, um zu

untersuchen, wie Blutttests und Anpassungen der Injektionshäufigkeit in der Praxis durchgeführt werden und wie gut diese Maßnahmen Thrombozytopenie und Blutungen vorbeugen können.

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

Das Unternehmen, das Waylivra in Verkehr bringt, wird Patienten und Angehörigen der Heilberufe Informationsmaterial über das mit der Behandlung verbundene Risiko von Thrombozytopenie und Blutungen sowie über die Bedeutung der regelmäßigen Untersuchung der Blutplättchenspiegel bei Patienten zur Verfügung stellen.

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

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

Weitere Informationen über Waylivra

Weitere Informationen über Waylivra finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.