



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Waylindra (βολανεσορσένη)

Ανασκόπηση του Waylindra και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

### Τι είναι το Waylindra και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Waylindra είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία του συνδρόμου οικογενούς χυλομικροναϊμίας (familial chylomicronemia syndrome, FCS), μιας γενετικής κατάστασης που οδηγεί σε υψηλά επίπεδα λιπαρών ουσιών που ονομάζονται τριγλυκερίδια στο αίμα. Το πλεονάζον λίπος αναπτύσσεται σε διάφορα μέρη του σώματος και οδηγεί σε συμπτώματα τα οποία περιλαμβάνουν, μεταξύ άλλων, κοιλιακό πόνο, εναπόθεση λίπους κάτω από το δέρμα και παγκρεατίτιδα (φλεγμονή του παγκρέατος).

Το Waylindra, μαζί με διατροφή χαμηλή σε λιπαρά, χρησιμοποιείται για τη μείωση του επιπέδου των τριγλυκεριδίων στο αίμα σε ασθενείς με σύνδρομο FCS το οποίο έχει επιβεβαιωθεί με γενετικές δοκιμές. Χορηγείται μόνο σε ασθενείς στους οποίους άλλα φάρμακα για τη μείωση των τριγλυκεριδίων δεν ήταν αποτελεσματικά και οι οποίοι διατρέχουν υψηλό κίνδυνο εμφάνισης παγκρεατίτιδας.

Το σύνδρομο FCS είναι σπάνια πάθηση και το Waylindra χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 19 Φεβρουαρίου 2014. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249).

Το φάρμακο περιέχει τη δραστική ουσία βολανεσορσένη.

### Πώς χρησιμοποιείται το Waylindra;

Το Waylindra διατίθεται υπό μορφή διαλύματος για υποδόρια ένεση. Οι ασθενείς ή τα άτομα που τους φροντίζουν μπορούν να κάνουν μόνοι τους την ένεση, αφού λάβουν την κατάλληλη εκπαίδευση.

Κατά την έναρξη της θεραπείας, το Waylindra χορηγείται μία φορά την εβδομάδα. Μετά από 3 μήνες, οι ασθενείς που παρουσιάζουν επαρκή μείωση του επιπέδου των τριγλυκεριδίων μπορούν να συνεχίσουν να λαμβάνουν το φάρμακο μία φορά κάθε 2 εβδομάδες. Η συχνότητα των ενέσεων προσαρμόζεται εκ νέου μετά από 6 και 9 μήνες, ανάλογα με το πόσο αποτελεσματικό είναι το φάρμακο.

Επειδή το Waylindra μπορεί να μειώσει τα επίπεδα των αιμοπεταλίων (συστατικά που συμβάλλουν στην πήξη του αίματος), θα πρέπει να γίνονται τακτικοί έλεγχοι των αιμοπεταλίων των ασθενών, μαζί με τους τακτικούς ελέγχους των τριγλυκεριδίων, ώστε να διαπιστώνεται πόσο αποτελεσματικά δρα το φάρμακο.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Ανάλογα με τα αποτελέσματα, η συχνότητα των ενέσεων μπορεί να προσαρμόζεται ή η αγωγή να διακόπτεται προσωρινά ή οριστικά.

Το Waylivra χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η θεραπεία πρέπει να χορηγείται υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στην αντιμετώπιση του συνδρόμου FCS. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Waylivra, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

## **Πώς δρα το Waylivra;**

Η δραστική ουσία του Waylivra, η βολανεσορσένη, είναι ένα «αντιπληροφοριακό ολιγονουκλεοτίδιο», ένα πολύ μικρό κομμάτι συνθετικού RNA (τύπος γενετικού υλικού). Έχει σχεδιαστεί για να αναστέλλει την παραγωγή μιας πρωτεΐνης η οποία επιβραδύνει τον μεταβολισμό των λιπαρών ουσιών και ονομάζεται απολιποπρωτεΐνη C-III. Αναστέλλοντας την παραγωγή αυτής της πρωτεΐνης, το φάρμακο μειώνει τα επίπεδα των τριγλυκεριδίων στο αίμα και, ως εκ τούτου, τη συσσώρευση λίπους στον οργανισμό. Με τον τρόπο αυτό αναμένεται να μειώσει και τον κίνδυνο της παγκρεατίτιδας.

## **Ποιο είναι το όφελος του Waylivra σύμφωνα με τις μελέτες;**

Το Waylivra αποδείχθηκε αποτελεσματικό στη μείωση των τριγλυκεριδίων στο αίμα σε μελέτη που διενεργήθηκε με 67 ασθενείς με σύνδρομο FCS. Ύστερα από 3 μήνες, οι ασθενείς που έλαβαν Waylivra παρουσίασαν κατά μέσο όρο μείωση των τριγλυκεριδίων κατά 77 % σε σύγκριση με τη μέση μείωση κατά 18 % στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Όλοι οι ασθενείς που μετείχαν στη μελέτη, εκτός από τη χορήγηση του φαρμάκου Waylivra ή του εικονικού φαρμάκου, υποβάλλονταν σε δίαιτα χαμηλή σε λιπαρά.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Waylivra;**

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Waylivra είναι μειωμένα επίπεδα αιμοπεταλίων (που μπορεί να επηρεάσουν 4 στα 10 άτομα) και αντιδράσεις στο σημείο της ένεσης, όπως πόνος, οίδημα, κνησμός ή μώλωπες (οι οποίοι ενδέχεται να εμφανιστούν σε 8 στα 10 άτομα).

Το Waylivra δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς με μακροχρόνια ή ανεξήγητη θρομβοκυτταροπενία (χαμηλά επίπεδα αιμοπεταλίων).

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Waylivra περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Waylivra στην ΕΕ;**

Το Waylivra μειώνει αποτελεσματικά τα επίπεδα των τριγλυκεριδίων και αναμένεται να μειώσει τον κίνδυνο της παγκρεατίτιδας σε ασθενείς με FCS. Ο βασικός κίνδυνος με το φάρμακο αυτό είναι η θρομβοκυτταροπενία η οποία, όταν είναι σοβαρή, μπορεί να οδηγήσει σε αιμορραγία. Συνεπώς, οι ασθενείς πρέπει να παρακολουθούνται στενά και να προσαρμόζεται η συχνότητα των ενέσεων, εάν χρειάζεται.

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι για τους ασθενείς που διατρέχουν υψηλό κίνδυνο παγκρεατίτιδας και για τους οποίους τα άλλα φάρμακα και η χαμηλή σε λιπαρά δίαιτα δεν έχουν αποδειχθεί αποτελεσματικά τα οφέλη του Waylivra υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και η χρήση του μπορεί να εγκριθεί στην ΕΕ.

Το Waylivra έχει λάβει «έγκριση υπό όρους». Αυτό σημαίνει ότι αναμένονται περισσότερα δεδομένα σχετικά με το φάρμακο, τα οποία καλείται να προσκομίσει η εταιρεία. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός

Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

## **Ποια στοιχεία για το Waylivra αναμένεται να υποβληθούν;**

Δεδομένου ότι το Waylivra έχει λάβει άδεια υπό όρους, η παρασκευάστρια εταιρεία του Waylivra θα παράσχει αποτελέσματα μελέτης που θα βασίζεται σε μητρώο ασθενών για τη διερεύνηση του τρόπου διεξαγωγής των ελέγχων του αίματος και των προσαρμογών στη συχνότητα των ενέσεων, καθώς και της αποτελεσματικότητάς τους στην πρόληψη της θρομβοκυτταροπενίας και της αιμορραγίας.

## **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Waylivra;**

Η εταιρεία που διαθέτει στην αγορά το Waylivra θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό στους ασθενείς και στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας με πληροφορίες σχετικά με τον κίνδυνο θρομβοκυτταροπενίας και αιμορραγίας κατά τη θεραπεία και για τη σημασία του τακτικού ελέγχου του επιπέδου των αιμοπεταλίων στους ασθενείς.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Waylivra.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Waylivra τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Waylivra αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

## **Λοιπές πληροφορίες για το Waylivra**

Περισσότερες πληροφορίες για το Waylivra διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra).