



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsen*)

Información general sobre Waylivra y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Waylivra y para qué se utiliza?

Waylivra es un medicamento que se utiliza para tratar el síndrome de quilomicronemia familiar (SQF), una enfermedad genética que da lugar a niveles elevados en sangre de un tipo de grasas denominadas triglicéridos. El exceso de grasa se acumula en varias partes del organismo y provoca la aparición de síntomas como dolor abdominal (dolor de tripa), depósitos de grasa bajo la piel y pancreatitis (inflamación del páncreas).

Junto con una dieta baja en grasas, Waylivra se utiliza para reducir la concentración de triglicéridos en la sangre de pacientes con SQF que se ha confirmado mediante pruebas genéticas. Solo se administra a pacientes que no respondieron a otros medicamentos para reducir los niveles de triglicéridos y que presentan un riesgo elevado de desarrollar pancreatitis.

El SQF es una enfermedad «rara» y Waylivra fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 19 de febrero de 2014. Puede encontrar más información acerca de la designación como medicamento huérfano en:

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

Waylivra contiene el principio activo volanesorsen.

¿Cómo se usa Waylivra ?

Waylivra se presenta en solución para inyección bajo la piel, que los pacientes o sus cuidadores pueden inyectar ellos mismos una vez se les haya enseñado cómo hacerlo.

Al inicio del tratamiento, Waylivra se administra una vez a la semana. Transcurridos 3 meses, los pacientes que hayan experimentado una reducción suficiente del nivel de triglicéridos pueden seguir inyectándose el medicamento una vez cada 2 semanas. La frecuencia de las inyecciones se ajusta de nuevo al cabo de 6 y 9 meses, dependiendo de la eficacia del medicamento.

Dado que Waylivra puede reducir los niveles de plaquetas en sangre (componentes que ayudan a que la sangre se coagule), se deben examinar periódicamente los niveles de plaquetas en sangre de los pacientes, además de efectuar controles periódicos de los triglicéridos para comprobar la eficacia del

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



medicamento. En función de los resultados, se podrá ajustar la frecuencia de las inyecciones, o interrumpir o suspender el tratamiento.

Waylivra solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de SQF. Para mayor información sobre el uso de Waylivra, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Waylivra?

El principio activo de Waylivra, el volanesorsen, es un «oligonucleótido antisentido», un fragmento muy corto de ARN (un tipo de material genético). Se ha diseñado para bloquear la producción de una proteína que ralentiza la degradación de las grasas denominadas apolipoproteína C-III. Al bloquear la producción de esta proteína, el medicamento reduce el nivel de triglicéridos en la sangre y, como consecuencia, la acumulación de grasa en el organismo; lo que se espera reduzca el riesgo de pancreatitis.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Waylivra en los estudios realizados?

En un estudio a 67 pacientes con SQF se demostró la eficacia de Waylivra en la reducción de los niveles de triglicéridos en sangre. Transcurridos 3 meses, los pacientes tratados con Waylivra experimentaron una reducción media del 77 % en el nivel de triglicéridos en comparación con una reducción media del 18 % por parte de los pacientes a los que se administró placebo (un tratamiento ficticio). Todos los pacientes que participaron en el estudio siguieron una dieta baja en grasas, además de las inyecciones de Waylivra o placebo.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Waylivra?

Los efectos adversos más frecuentes de Waylivra son niveles reducidos de plaquetas (que pueden afectar a 4 de cada 10 pacientes) y reacciones en el lugar de la inyección, como dolor, hinchazón, picor o hematomas (que pueden afectar a 8 de cada 10 pacientes).

Waylivra no debe administrarse a pacientes con trombocitopenia crónica o sin explicación (bajos niveles de plaquetas).

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Waylivra se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Waylivra en la UE?

Waylivra reduce eficazmente los niveles de triglicéridos y se espera que reduzca el riesgo de pancreatitis en pacientes con SQF. El principal riesgo con este medicamento es la trombocitopenia; ya que, cuando esta es grave, puede provocar hemorragias. Por lo tanto, debe hacerse un seguimiento meticuloso de los pacientes y, en caso necesario, se ajustará la frecuencia de las inyecciones.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que, en el caso de los pacientes que presentaban un elevado riesgo de pancreatitis y que no respondieron suficientemente a otros medicamentos y a una dieta baja en grasas, los beneficios de Waylivra son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

A Waylivra se le ha concedido una «autorización condicional». Esta modalidad de aprobación implica que se espera obtener más información sobre este medicamento, que la compañía está obligada a proporcionar. La Agencia revisará cada año la información nueva que pueda estar disponible y esta información general se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Waylivra?

Dado que Waylivra se le ha concedido una autorización condicional, la compañía que comercializa Waylivra proporcionará los resultados de un estudio basado en un registro de pacientes a fin de investigar cómo se llevan a cabo en la práctica los controles de sangre y los ajustes de la frecuencia de las inyecciones, así como su nivel de eficacia para prevenir la trombocitopenia y las hemorragias.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Waylivra?

La compañía que comercializa Waylivra proporcionará material educativo a los pacientes y a los profesionales sanitarios con información sobre el riesgo de trombocitopenia y hemorragias con el tratamiento y la importancia de comprobar periódicamente los niveles de plaquetas en los pacientes.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Waylivra se han incluido también en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Waylivra se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Waylivra se evalúan cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Waylivra

Puede encontrar información adicional sobre Waylivra en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.