



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (volanesorseen)

Ülevaade ravimist Waylivra ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Waylivra ja milleks seda kasutatakse?

Waylivra on ravim, mida kasutatakse perekondliku külomikroneemia sündroomi (FCS) raviks. See on seisund, mis põhjustab triglütseriidide (teatud rasvad) suurt sisaldust veres. Liigne rasv koguneb organismi eri osadesse, põhjustades sümptomeid, näiteks kõhuvalu, nahaaluseid rasvaladestusi ja pankreatiiti (kõhunäärme põletik).

Waylivrat kasutatakse koos vähese rasvasisaldusega dieediga, et vähendada vere triglütseriidisisaldust patsientidel, kellel on geenitestiga kinnitatud FCS. Seda kasutatakse üksnes patsientidel, kellele ei ole toiminud muud vere triglütseriidisisalduse vähendamise ravimid või kellel on suur pankreatiidi tekkerisk.

FCS esineb harva ja Waylivra nimetati 19. veebruaril 2014 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra sisaldab toimeainena volanesorseeni.

Kuidas Waylivrat kasutatakse?

Waylivrat turustatakse süstelahusena, mida patsiendid või nende hooldajad saavad süstida ise, kui nad on saanud asjakohase väljaõppe.

Ravi alguses manustatakse Waylivrat üks kord nädalas. Pärast 3 kuu möödumist saavad patsiendid, kelle triglütseriidisisaldus on piisavalt vähenenud, jätkata ravimi süste iga 2 nädala järel. Olenevalt ravimi toimest korrigeeritakse süstimissagedust pärast 6 ja 9 kuu möödumist uuesti.

Et Waylivra võib vähendada vere trombotsüüdisisaldust (vererakud, mis soodustavad vere hüübimist), tuleb lisaks triglütseriidide korrapärasele kontrollile regulaarselt kontrollida ka vere trombotsüüdisisaldust, et näha, kui hästi ravim toimib. Sõltuvalt tulemustest võib süstimise sagedust reguleerida või ravi katkestada või lõpetada.

Waylivra on retseptiravim. Ravi peab toimuma FCS-i ravis kogunud arsti järelevalve all. Lisateavet Waylivra kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.

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



Kuidas Waylivra toimib?

Waylivra toimeaine volanesorseen on antisenss-oligonukleotiid ehk sünteetilise RNA (geneetilise materjali liik) ahela väga lühike tükk. See on kavandatud blokeerima rasvade lagunemist aeglustava valgu apolipoproteiin C-III tootmist. Selle valgu tootmist blokeerides vähendab ravim vere triglütseriidisisaldust ja selle tulemusena rasva akumulereerumist organismis, mis eeldatavasti vähendab pankreatiidi tekkeriski.

Milles seisneb uuringute põhjal Waylivra kasulikkus?

Waylivra oli efektiivne vere triglütseriidisisalduse vähendamisel uuringus, milles osales 67 FCS-iga patsienti. Pärast 3 kuud oli Waylivrat kasutanud patsientidel triglütseriidisisaldus vähenenud keskmiselt 77% ja platseebot (näiv ravim) saanud patsientidel vähenenud keskmiselt 18%. Kõik uuringus osalenud patsiendid olid lisaks Waylivra või platseebo kasutamisele ka väikese rasvasisaldusega dieedil.

Mis riskid Waylivraga kaasnevad?

Waylivra kõige sagedamad kõrvalnähud on trombotsüütide sisalduse vähenemine (võib esineda 4 patsiendil 10st) ja süstekoha reaktsioonid, näiteks valu, turse, sügelus või verevalumid (võivad esineda 8 patsiendil 10st).

Waylivrat ei tohi kasutada patsiendid, kellel on pikaajaline või teadmata põhjusega trombotsütopeenia (trombotsüütide ehk vereliistakute vähesus).

Waylivra kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

ELis Waylivrale väljastatud müügiloa põhjendus

Waylivra vähendab efektiivselt triglütseriidide sisaldust ja eeldatavasti vähendab FCS-iga patsientidel pankreatiidi tekkeriski. Selle ravimi põhirisk on trombotsütopeenia, mille raske vorm võib põhjustada verejookse. Seepärast tuleb patsiente hoolikalt jälgida ja vajaduse korral kohandada süstimissagedust.

Euroopa Raviamet otsustas, et suure pankreatiidiriskiga patsientidel, kellele muud ravimid ja vähese rasvasisaldusega dieet ei ole piisavalt hästi toimunud, on Waylivra kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Waylivra on saanud müügiloa tingimusliku heakskiidu alusel. See tähendab, et ettevõtte peab esitama ravimi kohta veel andmeid. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

Mis teavet Waylivra kohta veel oodatakse?

Et Waylivra on saanud müügiloa tingimusliku heakskiidu alusel, esitab Waylivra turustaja tulemused patsiendiregistri põhiseadusest uuringust, et uurida, kuidas toimusid vereanalüüsid ja süstimissageduse kohandamine ning kui efektiivsed need on trombotsütopeenia ja verejooksu ennetamisel.

Mis meetmed võetakse, et tagada Waylivra ohutu ja efektiivne kasutamine?

Waylivra turustaja annab patsientidele ja tervishoiutöötajatele teabematerjali, mis sisaldab teavet raviga kaasneva trombotsütopeenia- ja verejooksuriski kohta ning selle kohta, kui oluline on regulaarselt kontrollida patsientide trombotsüüdisaldust.

Waylivra ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Waylivra kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Waylivra kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Waylivra kohta

Lisateave Waylivra kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.