



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorseeni*)

Yleistiedot Waylivrasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Waylivra on ja mihin sitä käytetään?

Waylivra on lääke, jota käytetään familiaalinen kylomikronemia -oireyhtymän (FCS) hoitoon. Kyse on geneettisestä sairaudesta, joka lisää triglyserideiksi kutsuttujen rasvojen pitoisuutta veressä. Liiallinen rasva kertyy eri puolille kehoa ja saa aikaan oireita, kuten vatsakipua, ihonalaisia rasvakertymiä ja haimatulehdusta.

Waylivraa käytetään yhdessä vähärasvaisen ruokavalion kanssa vähentämään triglyseridipitoisuutta veressä potilaille, joiden sairaus on vahvistettu geenitestillä. Sitä annetaan ainoastaan potilaille, joilla muut triglyseridipitoisuutta vähentävät lääkkeet eivät ole tehonneet ja joilla on suuri haimatulehduksen riski.

Familiaalinen kylomikronemia -oireyhtymä on harvinainen sairaus, ja Waylivra nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 19. helmikuuta 2014. Lisää tietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä löytyy täältä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivran vaikuttava aine on volanesorseeni.

Miten Waylivraa käytetään?

Waylivraa on saatavana ihon alle injektoitavana liuksena, jonka potilaat tai heidän hoitajansa voivat injektoida itse saatuaan siihen opastusta.

Hoidon alussa Waylivraa annetaan kerran viikossa. Kolmen kuukauden jälkeen potilaille, joiden triglyseridipitoisuus on alentunut riittävästi, voidaan jatkossa antaa lääkettä kerran kahdessa viikossa. Injektioiden antotiheyttä mukautetaan jälleen 6–9 kuukauden kuluttua sen mukaan, miten hyvin lääke tehoaa.

Waylivra voi vähentää veren hyytymistä edistävien verihiihtaleiden pitoisuutta veressä. Siksi potilaiden verihiihtaleiden määrä on tarkastettava säännöllisesti triglyseridejä koskevien säännöllisten tarkastusten lisäksi, sen toteamiseksi, miten hyvin lääke vaikuttaa. Tuloksista riippuen injektioiden antotiheyttä voidaan mukauttaa tai hoito voidaan keskeyttää tai lopettaa.

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



Waylivraa saa vain lääkärin määräyksestä, ja hoito on annettava sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta familiaalinen kylomikronemia -oireyhtymän hoitamisesta. Lisätietoja Waylivran käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Waylivra vaikuttaa?

Waylivran vaikuttava aine volanesorseeni on antisense-oligonukleotidi, joka on hyvin lyhyt pätkä keinotekoista RNA:ta (erääntyypistä geneettistä materiaalia). Se on suunniteltu estämään apolipoproteiini C-III:ksi kutsutun, rasvojen hajoamista hidastavan proteiinin tuotanto. Tämän proteiinin tuotantoa estämällä lääke vähentää triglyseridipitoisuutta veressä ja sen seurauksena rasvan kertymistä elimistöön, minkä odotetaan vähentävän haimatulehduksen riskiä.

Mitä hyötyä Waylivrasta on havaittu tutkimuksissa?

Waylivra oli tehokas triglyseridien vähentämisessä veressä tutkimuksessa, johon osallistui 67 familiaalinen kylomikronemia -oireyhtymää sairastavaa potilasta. Kolmen kuukauden jälkeen Waylivraa saaneiden potilaiden triglyseridipitoisuus väheni keskimäärin 77 prosenttia, kun lumelääkettä saaneilla se väheni keskimäärin 18 prosenttia. Kaikki tutkimukseen osallistuneet potilaat olivat vähärasvaisella ruokavaliolla saamansa Waylivra-hoidon tai lumelääkkeen lisäksi.

Mitä riskejä Waylivraan liittyy?

Yleisimmät Waylivraan liittyvät sivuvaikutukset ovat verihitaleiden määrän väheneminen (jota voi aiheutua 4 potilaalle 10:stä), injektiokohdan reaktiot, kuten kipu, turvotus, kutina, sekä mustelmat (joita voi ilmaantua 8 potilaalle 10:stä).

Waylivraa ei saa antaa potilaille, joilla on pitkäaikaista tai selittämättömästä syystä johtuvaa trombosytopeniaa (alhainen verihitalemäärä).

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Waylivran sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Waylivra on hyväksytty EU:ssa?

Waylivra vähentää tehokkaasti triglyseridipitoisuutta ja sen odotetaan vähentävän haimatulehduksen riskiä familiaalinen kylomikronemia -oireyhtymää sairastavilla potilailla. Suurin tähän lääkkeeseen liittyvä riski on trombosytopenia, joka vaikeassa tapauksessa voi johtaa verenvuotoon. Potilaita on tämän vuoksi seurattava tarkoin ja injektioiden antotiheyttä on tarpeen mukaan mukautettava.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Waylivrasta saatava hyöty on sen riskejä suurempi sellaisten potilaiden osalta, joilla on suuri haimatulehduksen riski ja joilla muut lääkkeet ja vähärasvainen ruokavalio eivät ole tehonneet riittävän hyvin, ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Waylivralle on myönnetty ns. ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmisteesta on odotettavissa lisää tietoa, minkä yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Waylivrasta odotetaan vielä saatavan?

Koska Waylivralle on myönnetty ehdollinen myyntilupa, sitä markkinoiva yhtiö toimittaa tulokset potilasrekisteriin perustuvasta tutkimuksesta, jossa selvitetään, miten verikokeet ja injektioiden antotiheyden mukautukset tehdään käytännössä ja miten hyvin ne tehoavat trombosytopenian ja verenvuodon ehkäisemiseksi.

Miten voidaan varmistaa Waylivran turvallinen ja tehokas käyttö?

Waylivraa markkinoida yhtiö tarjoaa potilaille ja terveydenhoidon ammattilaisille perehdytysmateriaalia, joka sisältää tietoa hoitoon liittyvästä trombosytopenian ja verenvuodon riskistä ja siitä, että potilaiden verihiutalemäärä on tärkeää tarkistaa säännöllisesti.

Suosituksiset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Waylivran käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Waylivran käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Waylivrasta ilmoitetut sivuvaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Waylivrasta

Lisää tietoa Waylivrasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.