



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Waylivra (*volanesorsen*)

Aperçu de Waylivra et pourquoi il est autorisé dans l'UE

### Qu'est-ce que Waylivra et dans quel cas est-il utilisé?

Waylivra est un médicament utilisé pour traiter le syndrome de chylomicronémie familiale (SCF), une maladie génétique qui entraîne des taux élevés de graisses, appelées triglycérides, dans le sang. L'excès de graisse s'accumule dans différentes parties de l'organisme et entraîne des symptômes, notamment des douleurs abdominales (douleurs au ventre), des dépôts de graisse sous la peau et une pancréatite (inflammation du pancréas).

Waylivra, associé à un régime pauvre en graisses, est utilisé pour réduire les taux sanguins de triglycérides chez les patients atteints d'un SCF confirmé par des tests génétiques. Il n'est administré qu'aux patients chez lesquels d'autres médicaments destinés à réduire les triglycérides n'ont pas fonctionné et qui sont exposés à un risque élevé de développement d'une pancréatite.

Le SCF est une maladie rare et Waylivra a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 19 février 2014. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249).

Waylivra contient la substance active volanesorsen.

### Comment Waylivra est-il utilisé?

Waylivra est disponible sous la forme d'une solution injectable sous la peau, que les patients ou leurs soignants peuvent injecter eux-mêmes une fois formés.

Au début du traitement, Waylivra est administré une fois par semaine. Après 3 mois, les patients qui ont bénéficié d'une réduction suffisante du taux de triglycérides peuvent continuer à recevoir le médicament une fois toutes les deux semaines. La fréquence des injections est réajustée après 6 et 9 mois en fonction de l'efficacité du médicament.

Étant donné que Waylivra peut réduire les taux sanguins de plaquettes (composants qui aident le sang à coaguler), il convient de vérifier régulièrement les taux de plaquettes de sang des patients, en plus des contrôles réguliers des triglycérides pour voir dans quelle mesure le médicament fonctionne bien. En fonction des résultats, la fréquence des injections peut être ajustée ou le traitement interrompu ou arrêté.

---

**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



Waylivra n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être supervisé par un médecin expérimenté dans le traitement du SCF. Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Waylivra, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

## **Comment Waylivra agit-il?**

La substance active de Waylivra, le volanesorsen, est un «oligonucléotide antisens» un très petit fragment d'ARN synthétique (un type de matériel génétique). Il a été conçu pour bloquer la production d'une protéine qui ralentit la décomposition des graisses, appelée «apolipoprotéine C-III». En bloquant la production de cette protéine, le médicament réduit le taux de triglycérides dans le sang et, par conséquent, l'accumulation de graisse dans le corps, ce qui est censé réduire le risque de pancréatite.

## **Quels sont les bénéfices de Waylivra démontrés au cours des études?**

Waylivra a été efficace pour réduire les triglycérides dans le sang dans le cadre d'une étude sur 67 patients atteints de SCF. Après 3 mois, les patients sous Waylivra présentaient une réduction moyenne de 77 % du taux de triglycérides contre une réduction moyenne de 18 % chez les patients sous placebo (un traitement fictif). Tous les patients de l'étude étaient nourris avec un régime pauvre en matières grasses et recevaient en plus Waylivra ou un placebo.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Waylivra?**

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Waylivra sont des taux de plaquettes réduits (qui peuvent toucher 4 personnes sur dix) et des réactions au site de l'injection telles que douleur, gonflement, démangeaisons, ou contusions (qui peuvent toucher 8 personnes sur dix).

Waylivra ne doit pas être utilisé chez les patients qui présentent une thrombocytopénie à long terme ou inexplicée (taux de plaquettes bas).

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Waylivra, voir la notice.

## **Pourquoi Waylivra est-il autorisé dans l'UE?**

Waylivra réduit efficacement les niveaux de triglycérides et vise à réduire le risque de pancréatite chez les patients atteints de SCF. Le principal risque associé à ce médicament est la thrombocytopénie qui, lorsqu'elle est grave, peut provoquer des saignements. Les patients doivent donc être suivis de près et la fréquence des injections doit être adaptée si nécessaire.

L'Agence européenne des médicaments a décidé que, pour les patients présentant un risque élevé de pancréatite et chez lesquels d'autres médicaments et un régime pauvre en matières grasses n'ont pas suffisamment bien fonctionné, les bénéfices de Waylivra sont supérieurs à ses risques et qu'il peut être autorisé en vue de son utilisation dans l'UE.

Une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Waylivra. Cela signifie que des preuves supplémentaires, à fournir par la société, sont attendues pour ce médicament. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

## **Quelles informations sont encore en attente au sujet de Waylivra?**

Une autorisation conditionnelle ayant été délivrée pour Waylivra, la société qui commercialise Waylivra fournira les résultats d'une étude réalisée sur la base d'un registre de patients afin d'étudier la manière dont les examens sanguins et les ajustements de la fréquence des injections sont réalisés dans la pratique et avec quelle efficacité ils agissent pour prévenir la thrombocytopénie et les saignements.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Waylivra?**

La société qui commercialise Waylivra fournira aux patients et aux professionnels de la santé un matériel pédagogique contenant des informations sur le risque de thrombocytopénie et de saignements et l'importance de contrôler régulièrement le taux de plaquettes chez les patients.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Waylivra ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Waylivra sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Waylivra sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

## **Autres informations relatives à Waylivra**

Des informations sur Waylivra sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra).