



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Waylivra (*volanesorsen*)

Pregled informacija o lijeku Waylivra i zašto je odobren u EU-u

### Što je Waylivra i za što se primjenjuje?

Waylivra je lijek za liječenje sindroma obiteljske hilomikronemije (FCS), genetskog poremećaja koji uzrokuje visoke razine masti naziva trigliceridi u krvi. Prekomjerne količine masti nakupljaju se u različitim dijelovima tijela te uzrokuju simptome koji uključuju abdominalnu bol (bol u trbuhu), naslage masti ispod kože i pankreatitis (upalu gušterače).

Zajedno s dijetom siromašnom mastima, lijek Waylivra primjenjuje se za smanjenje razina triglicerida u krvi u bolesnika s FCS-om koji je potvrđen genetskim testiranjem. Daje se samo bolesnicima u kojih drugi lijekovi za smanjenje triglicerida nisu djelovali te kod kojih postoji visok rizik od razvoja pankreatitisa.

FCS je rijetka bolest, a lijek Waylivra je dobio status „lijeka za rijetku bolest“ 19. veljače 2014. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest nalazi se ovdje: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249).

Waylivra sadrži djelatnu tvar volanesorsen.

### Kako se Waylivra primjenjuje?

Lijek Waylivra dostupan je kao otopina za injekciju koja se daje pod kožu, koju bolesnici ili njihovi njegovatelji mogu sami primijeniti nakon što prođu odgovarajuću obuku.

Na početku se terapije Waylivra daje jednom tjedno. Nakon tri mjeseca bolesnici u kojih je došlo do dovoljnog smanjenja razine triglicerida mogu nastaviti primati lijek jednom svaka dva tjedna. Učestalost injekcija prilagođava se ponovo nakon šest i devet mjeseci, ovisno o djelovanju lijeka na bolesnika.

S obzirom na to da Waylivra može smanjiti razine trombocita u krvi (tvari koje pomažu pri zgrušavanju krvi), potrebno je, uz redovnu kontrolu razina triglicerida, redovito kontrolirati i razine trombocita u krvi bolesnika da se vidi kako djeluje lijek. Ovisno o rezultatima, učestalost injekcija može se prilagoditi ili se terapiju može privremeno ili trajno obustaviti.

Waylivra se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje mora nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju FCS-a. Više informacija o primjeni lijeka Waylivra pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

---

**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



## **Kako djeluje Waylivra?**

Djelatna tvar lijeka Waylivra, volanesorsen, je „antisense oligonukleotid“, vrlo kratak dio sintetskog RNK-a (vrste genetskog materijala). Osmišljen je za blokiranje proizvodnje bjelančevine koja usporava razgradnju masti, naziva apoC-III. Blokiranjem proizvodnje te bjelančevine lijek smanjuje razinu triglicerida u krvi i posljedično nakupljanje masti u organizmu, te se očekuje da stoga smanji i rizik od pankreatitisa.

## **Koje su koristi od lijeka Waylivra utvrđene u ispitivanjima?**

U ispitivanju provedenom na 67 bolesnika s FCS-om lijek Waylivra bio je učinkovit u smanjivanju razina triglicerida u krvi. Nakon tri mjeseca, u bolesnika koji su primili lijek Waylivra u prosjeku je došlo do smanjenja razine triglicerida od 77 % u usporedbi s prosječnim smanjenjem od 18 % u bolesnika koji su primili placebo (prividno liječenje). Uz lijek Waylivra ili placebo koji su primali, svi bolesnici u ispitivanju bili su na dijeti s niskom količinom masti.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Waylivra?**

Najčešće nuspojave lijeka Waylivra su smanjenje razina trombocita (koje se može javiti u 4 na 10 osoba) i reakcije na mjestu injiciranja poput boli, oticanja, svrbeži ili modrica (koje se mogu javiti u 8 na 10 osoba).

Waylivra se ne smije primjenjivati u bolesnika s dugoročnom ili neobjašnjivom trombocitopenijom (niskom razinom trombocita).

Potpuni popis nuspojava i ograničenja pri primjeni lijeka Waylivra potražite u uputi o lijeku.

## **Zašto je Waylivra odobren u EU-u?**

Waylivra učinkovito smanjuje razine triglicerida te se očekuje da smanji rizik od pankreatitisa u bolesnika s FCS-om. Glavni je rizik od ovog lijeka trombocitopenija koja u ozbiljnom stadiju može dovesti do krvarenja. Stoga je bolesnike potrebno pažljivo pratiti te prema potrebi prilagođavati učestalost injekcija.

Europska agencija za lijekove odlučila je da za bolesnike u kojih postoji visok rizik od pankreatitisa i kod kojih drugi lijekovi u kombinaciji s dijetom siromašnom mastima nisu djelovali, koristi od lijeka Waylivra nadmašuju njegove rizike te da može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Waylivra dobio je „uvjetno odobrenje“. To znači da se očekuju dodatni podatci o lijeku koje tvrtka mora dostaviti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj pregled informacija po potrebi ažurira.

## **Koje se još informacije očekuju o lijeku Waylivra?**

Kako je lijek Waylivra dobio uvjetno odobrenje, tvrtka koja ga stavlja u promet dostavit će rezultate ispitivanja na temelju registra bolesnika u kojem će se istražiti kako se u praksi provode kontrole krvne slike i prilagodbe učestalosti injekcija te koliko uspješno sprječavaju trombocitopeniju i krvarenje.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Waylivra?**

Tvrtka koja lijek Waylivra stavlja u promet osigurat će materijale za obuku bolesnika i zdravstvenih radnika s informacijama o rizicima od trombocitopenije i krvarenja te o terapiji i važnosti redovne kontrole razina trombocita u bolesnika.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Waylivra također se nalaze u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Waylivra kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Waylivra pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

## **Ostale informacije o lijeku Waylivra**

Više informacija o lijeku Waylivra nalazi se na internetskim stranicama Agencije:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra).