



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanezorszen*)

A Waylivra-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Waylivra és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Waylivra a trigliceridek (zsírok) magas vérszintjét okozó genetikai betegség, a familiáris chylomikronémia szindróma (FCS) kezelésére alkalmazott gyógyszer. A test különböző részeiben felhalmozódik a többletzsír, ami olyan tünetek kialakulásához vezet, mint a hasi fájdalom, a bőralatti zsírlerakódás és a hasnyálmirigy-gyulladás.

Alacsony zsírtartalmú étrend mellett a Waylivra-t a trigliceridszint csökkentésére alkalmazzák genetikai vizsgálattal igazolt FCS-ben szenvedő betegeknek. A gyógyszert csak olyan betegek esetében alkalmazzák, akiknél a trigliceridszint csökkentésére szolgáló más gyógyszerek hatástalanok, és akiknél magas a hasnyálmirigy-gyulladás kialakulásának a kockázata.

Mivel az FCS „ritkának” minősül, ezért a Waylivra-t 2014. február 19-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

A Waylivra hatóanyaga a volanezorszen.

Hogyan kell alkalmazni a Waylivra-t?

A Waylivra bőr alá adandó oldatos injekció formájában kapható, amelyet betanítást követően a betegek vagy gondozóik maguk is beadhatnak.

A kezelés megkezdésekor a Waylivra-t hetente egyszer kell beadni. Három hónap elteltével azon betegek esetében, akiknél a trigliceridszint megfelelő mértékben csökkent, a gyógyszer alkalmazását kéthetente egyszeri adaggal lehet folytatni. A gyógyszer hatásosságától függően az injekciók beadásának gyakoriságát 6 és 9 hónap múlva ismét módosítják.

Mivel a Waylivra csökkentheti a vérlemezkek szintjét (a vér alvadását elősegítő komponensek), a gyógyszer hatásosságának értékelése érdekében végzett rendszeres trigliceridszint-ellenőrzés mellett a betegek vérlemezkeszintjét is rendszeresen ellenőrizni kell. Ennek eredményétől függően az injekciók beadásának gyakorisága módosítható, a kezelés megszakítható vagy leállítható.

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



A Waylivra csak receptre kapható, és a kezelést az FCS kezelésében tapasztalt orvos felügyelete mellett kell végezni. A Waylivra alkalmazásával kapcsolatos további információért olvassa el a betegájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Hogyan fejt ki hatását a Waylivra?

A Waylivra hatóanyaga, a volanezorszen, egy „antiszenz oligonukleotid”, egy nagyon rövid szintetikus RNS (egyfajta genetikai anyag). Úgy alakították ki, hogy megakadályozza egy olyan fehérje előállítását, amely lelassítja az „apolipoprotein C-III” elnevezésű zsírok lebomlását. E fehérje előállításának gátlásával a gyógyszer csökkenti a vérben található trigliceridek szintjét, és ennek következtében a szervezetben a zsír felhalmozódását, ami várhatóan csökkenti a hasnyálmirigy-gyulladás kockázatát.

Milyen előnyei voltak a Waylivra alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy, 67 FCS-ben szenvedő beteg részvételével végzett vizsgálatban a Waylivra hatásosan csökkentette a trigliceridek vérszintjét. Három hónap elteltével a Waylivra-val kezelt betegek trigliceridszintje átlagosan 77%-kal csökkent, míg a placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) 18%-os átlagos csökkenést értek el. A vizsgálatban részt vevő valamennyi beteg alacsony zsírtartalmú étrendet követett a Waylivra-val vagy placebóval végzett kezelés mellett.

Milyen kockázatokkal jár a Waylivra alkalmazása?

A Waylivra leggyakoribb mellékhatásai a csökkent vérlemezkeszint (10 személy közül 4-nél jelentkezhet) és az injekció beadásának helyén fellépő reakciók, mint például a fájdalom, duzzanat, viszketés vagy véraláfutás (10 személy közül 8-nál jelentkezhet).

A Waylivra nem alkalmazható hosszan tartó vagy ismeretlen eredetű trombocitopénia (alacsony vérlemezkeszint) esetén.

A Waylivra alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Waylivra forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Waylivra hatékonyan csökkenti a trigliceridszintet és várhatóan mérsékli a hasnyálmirigy-gyulladás kockázatát az FCS-ben szenvedő betegeknél. A gyógyszer alkalmazásának fő kockázata a trombocitopénia, amely súlyos esetekben vérzéshez vezethet. A betegek állapotát ezért fokozott figyelemmel kell kísérni, az injekciók gyakoriságát pedig szükség esetén módosítani kell.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy azoknál a betegeknél, akiknél fennáll a hasnyálmirigy-gyulladás fokozott kockázata, és akik esetében más gyógyszerek és az alacsony zsírtartalmú étrend nem működött megfelelően, a Waylivra alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

A Waylivra-t „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Waylivra-val kapcsolatban?

Mivel a Waylivra forgalomba hozatalát feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték, a Waylivra-t forgalmazó vállalat egy betegnyilvántartáson alapuló vizsgálat eredményeit fogja benyújtani. Ebben a vizsgálatban azt tanulmányozzák, hogy a vérteszteket és az injekció gyakoriságának módosítását hogyan végzik a gyakorlatban, és ezek segítségével milyen mértékben előzhető meg a trombocitopénia és a vérzés.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Waylivra biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Waylivra-t forgalmazó vállalat a betegek és az egészségügyi szakemberek számára oktatóanyagokat fog biztosítani a trombocitopénia és a vérzés kezeléssel járó kockázatáról, valamint a vérlemezkeszint rendszeres ellenőrzésének fontosságáról.

A Waylivra biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Waylivra alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Waylivra alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Waylivra-val kapcsolatos egyéb információ

A Waylivra-ra vonatkozó további információ az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.