



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsen*)

Sintesi di Waylivra e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Waylivra e per cosa si usa?

Waylivra è un medicinale utilizzato per il trattamento della sindrome da chilomicronemia familiare (FCS), un'affezione genetica che causa elevati livelli ematici di grassi detti trigliceridi. Il grasso in eccesso si accumula in varie parti dell'organismo e comporta reazioni sintomatiche, tra cui dolore addominale (mal di pancia), depositi di adipe sotto la cute e pancreatite (infiammazione del pancreas).

Waylivra, associato a una dieta a basso contenuto di grassi, è utilizzato per ridurre i livelli di trigliceridi nel sangue nei pazienti affetti da FCS accertata da test genetici. È somministrato esclusivamente a pazienti che non hanno risposto ad altre terapie indicate per la riduzione dei trigliceridi e che presentano un rischio elevato di sviluppare la pancreatite.

La FCS è "rara" e Waylivra è stato definito come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 19 febbraio 2014. Maggiori informazioni sulla definizione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra contiene il principio attivo volanesorsen.

Come si usa Waylivra?

Waylivra è disponibile come soluzione iniettabile sotto la pelle. L'iniezione può essere praticata dai pazienti stessi o dalle persone che li assistono dopo aver ricevuto le istruzioni del caso.

La terapia con Waylivra prevede inizialmente la somministrazione del medicinale una volta alla settimana. Dopo tre mesi i pazienti nei quali è stata osservata una riduzione sufficiente del livello dei trigliceridi possono continuare a ricevere il medicinale una volta ogni due settimane. La frequenza delle iniezioni è aggiustata nuovamente dopo sei e nove mesi, a seconda dell'efficacia del medicinale.

Poiché Waylivra può ridurre i livelli ematici delle piastrine (componenti che favoriscono la coagulazione del sangue), la conta piastrinica nei pazienti deve essere sottoposta a monitoraggio periodico, oltre al consueto monitoraggio dei trigliceridi utile a verificare l'azione del medicinale. A seconda dei risultati, è possibile aggiustare la frequenza delle iniezioni oppure sospendere o interrompere il trattamento.

Waylivra può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve avvenire sotto la supervisione di un medico esperto nel trattamento della FCS. Per maggiori informazioni sull'uso di Waylivra, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Official address Domenico Scarlatillaan 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



Come agisce Waylivra?

Il principio attivo di Waylivra, volanesorsen, è un "oligonucleotide antisense", un frammento di RNA sintetico (un tipo di materiale genetico), ideato per inibire la produzione di una proteina che rallenta il metabolismo dei grassi denominata apolipoproteina C-III. Bloccandone la produzione, il medicinale riduce il livello di trigliceridi nel sangue e, di conseguenza, l'accumulo adiposo nell'organismo, attenuando verosimilmente il rischio di pancreatite.

Quali benefici di Waylivra sono stati evidenziati negli studi?

Waylivra ha mostrato di essere efficace nel ridurre i trigliceridi nel sangue in uno studio condotto su 67 pazienti con FCS. Dopo tre mesi, i pazienti che hanno ricevuto Waylivra presentavano una riduzione media del 77 % del livello dei trigliceridi a fronte di una riduzione media del 18 % nei pazienti che hanno ricevuto placebo (un trattamento fittizio). Tutti i pazienti che hanno preso parte allo studio seguivano una dieta a basso contenuto di grassi in combinazione con Waylivra o placebo.

Quali sono i rischi associati a Waylivra?

Gli effetti indesiderati più comuni di Waylivra sono riduzione dei livelli di piastrine (che può riguardare 4 persone su 10) e reazioni nel sito dell'iniezione quali dolore, tumefazione, sensazione di prurito o lividura (che possono riguardare 8 persone su 10).

Waylivra non deve essere utilizzato in pazienti che presentano trombocitopenia (bassi livelli di piastrine) cronica o non specificata.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni di Waylivra, vedere il foglio illustrativo.

Perché Waylivra è autorizzato nell'UE?

Waylivra riduce efficacemente i livelli dei trigliceridi e dovrebbe attenuare il rischio di pancreatite nei pazienti con FCS. Il rischio principale con questo medicinale è la trombocitopenia che, se in forma grave, può portare a sanguinamento. I pazienti devono pertanto essere sottoposti a un attento monitoraggio e la frequenza delle iniezioni deve essere aggiustata, se necessario.

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che, per i pazienti ad alto rischio di pancreatite e per i quali altri medicinali e una dieta a basso contenuto di grassi non hanno funzionato adeguatamente, i benefici di Waylivra sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

Waylivra ha ottenuto una "autorizzazione subordinata a condizioni". Questo significa che in futuro saranno disponibili ulteriori informazioni sul medicinale, che la ditta è tenuta a fornire. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Waylivra?

Poiché per Waylivra è stata rilasciata un'autorizzazione subordinata a condizioni, la ditta che lo commercializza fornirà i risultati di uno studio basato su un registro dei pazienti al fine di esaminare le modalità pratiche delle analisi del sangue e degli aggiustamenti alla frequenza delle iniezioni nonché la loro efficacia nel prevenire trombocitopenia e sanguinamento.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Waylivra?

La ditta che commercializza Waylivra fornirà materiale informativo per i pazienti e gli operatori sanitari riguardante il rischio di trombocitopenia e di sanguinamento derivante dal trattamento e l'importanza di controllare regolarmente i livelli delle piastrine nei pazienti.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Waylivra sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Waylivra sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Waylivra sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Waylivra

Ulteriori informazioni su Waylivra sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.