



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsēns*)

Waylivra pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Waylivra un kāpēc tās lieto?

Waylivra ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pārmantotu hilomikronēmijas sindromu (PHS) jeb ģenētisko slimību, kuras rezultātā paaugstinās tauku, ko dēvē par triglicerīdiem, līmenis asinīs. Aptaukošanās veidojas dažādās ķermeņa daļās un izraisa simptomus, tostarp sāpes vēderā, zemādas tauku nogulsnešanos un pankreatītu (aizkuņģa dziedzera iekaisumu).

Waylivra kopā ar samazinātu tauku daudzumu uzturā lieto, lai mazinātu triglicerīdu līmeni asinīs pacientiem ar PHS, ko apstiprināja, veicot ģenētisko testēšanu. Tās lieto tikai pacienti, kuriem citas zāles triglicerīdu samazināšanai nav iedarbojušās un kuriem ir liels pankreatīta veidošanās risks.

PHS ir "reta", un 2014. gada 19. februārī Waylivra tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra satur aktīvo vielu volanesorsēnu.

Kā lieto Waylivra?

Waylivra ir pieejamas kā šķīdums zemādas injekcijām, ko pacienti vai viņu aprūpētāji var injicēt paši, ja tie ir apmācīti.

Ārstēšanas sākumposmā ievada Waylivra vienreiz nedēļā. Pēc trim mēnešiem pacienti, kuriem ir bijis pietiekams triglicerīdu līmeņa samazinājums, var turpināt lietot zāles reizi divās nedēļās. Injekciju biežumu vēlreiz pielāgo pēc 6 un 9 mēnešiem atkarībā no zāļu iedarbības.

Tā kā Waylivra var samazināt trombocītu (sastāvdaļu, kas palīdz asinīm sarecēt) skaitu asinīs, pacientu trombocītu līmenis ir regulāri jākontrolē papildus regulārām triglicerīdu pārbaudēm, lai redzētu, cik efektīva ir zāļu iedarbība. Atkarībā no rezultātiem injekciju biežums ir jāpielāgo vai ārstēšana uz laiku jāpārtrauc vai pilnīgi jāizbeidz.

Waylivra var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jānovēro ārstam ar pieredzi PHS ārstēšanā. Papildu informāciju par Waylivra lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

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



Kā *Waylivra* darbojas?

Waylivra aktīvā viela volanesorsēns ir "antisensa oligonukleoids" jeb ļoti maza sintētiska RNS (ģenētiskā materiāla veida) daļiņa. Tā ir izstrādāta, lai bloķētu olbaltumvielu, kas palēnina tauku jeb apolipoproteīna C-III sašķelšanu, sintēzi. Bloķējot olbaltumvielas sintēzi, zāles samazina triglicerīdu līmeni asinīs un rezultātā tauku uzkrāšanos organismā, kas, domājams, samazina pankreatīta veidošanās risku.

Kādi *Waylivra* ieguvumi atklāti pētījumos?

Waylivra bija efektīvas triglicerīdu līmeņa asinīs samazināšanai pētījumā ar 67 pacientiem ar PHS. Pēc trim mēnešiem pacientiem, kuri lietoja *Waylivra*, bija triglicerīdu līmeņa samazinājums par vidēji 77 % salīdzinājumā ar samazinājumu par vidēji 18 % pacientiem, kuri lietoja placebo (neīstu ārstēšanas līdzekli). Papildus *Waylivra* vai placebo lietošanai visiem pacientiem, kuri piedalījās pētījumā, bija samazināts tauku daudzums uzturā.

Kāds risks pastāv, lietojot *Waylivra*?

Visbiežākās *Waylivra* blakusparādības ir samazināts trombocītu skaits (kas var rasties 4 no 10 cilvēkiem) un reakcijas injekcijas vietā, piemēram, sāpes, pietūkums, nieze vai zilumi (kas var rasties 8 no 10 cilvēkiem).

Waylivra nedrīkst lietot pacienti ar ilgstošu vai neizskaidrojamu trombocitopēniju (mazu trombocītu skaitu asinīs).

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Waylivra*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Waylivra* ir reģistrētas ES?

Waylivra efektīvi samazina triglicerīdu līmeni un sagaidāms, ka tās samazina pankreatīta veidošanās risku pacientiem ar PHS. Galvenais risks saistībā ar šīm zālēm ir trombocitopēnija, kas var izraisīt asiņošanu, ja slimība norit smagā formā. Tādēļ pacienti ir uzmanīgi jānovēro un, ja nepieciešams, jāpielāgo injekciju biežums.

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka pacientiem ar palielinātu pankreatīta risku un tiem, kuriem citas zāles kopā ar samazinātu tauku daudzumu uzturā neiedarbojās pietiekami labi, ieguvums, lietojot *Waylivra*, pārsniedz to radīto risku un tās var reģistrēt lietošanai ES.

Waylivra ir reģistrētas "ar nosacījumiem". Tas nozīmē, ka ir sagaidāmi papildu dati par šīm zālēm, kas uzņēmumam ir jāiesniedz. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Waylivra* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Waylivra* ir reģistrētas ar nosacījumiem, uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Waylivra* nodrošinās rezultātus no pētījuma, kura pamatā ir pacientu reģistrs, nolūkā noskaidrot, kā asins pārbaudes un injekciju daudzuma pielāgojumi tiek veikti praksē un cik labi tie palīdz novērst trombocitopēniju un asiņošanu.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Waylivra* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Waylivra*, nodrošinās pacientus un veselības aprūpes speciālistus ar informāciju par trombocitopēnijas un asiņošanas risku, kas saistīts ar ārstēšanu, kā arī informāciju par to, cik svarīgi ir regulāri pārbaudīt trombocītu līmeni pacientiem.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Waylivra* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Waylivra* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Waylivra* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Waylivra*

Sīkāka informācija par *Waylivra* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.