



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsen*)

Ħarsa ġenerali lejn Waylivra u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Waylivra u għal xiex jintuża?

Waylivra hija mediċina li tintuża fil-kura tas-sindrome ta' chiyomoniememia (FCS) familjali, kundizzjoni ġenetika li tagħti lok għal livelli għoljin ta' xaħmijiet imsejha trigliċeridi fid-demem. Ix-xaħam żejjed huwa mibni f'diversi partijiet tal-ġisem u jwassal għal sintomi inkluż uġiġħ addominali (uġiġħ fiż-żaqq), depożiti ta' xaħam taħt il-ġilda u pankreatite (infjammazzjoni tal-frixa).

Waylivra, flimkien ma' dieta b'kontenut baxx ta' xaħam, jintuża biex inaqqas il-livelli ta' trigliċeridi tad-demem f'pazjenti b'FCS li għet kkonfermata permezz ta' ttestjar ġenetiku. Jingħata biss lil pazjenti li fihom mediċini oħra biex inaqqsu t-trigliċeridi ma jkunux ħadmu u li huma f'riskju għoli li jiżviluppaw il-pankreatite.

L-FCS hija rari, u Waylivra ġie denominat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fid-19 ta' Frar 2014. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab hawn:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra fih is-sustanza attiva volanesorsen.

Kif jintuża Waylivra?

Waylira hija disponibbli bħala soluzzjoni għall-injezzjoni taħt il-ġilda, li l-pazjenti jew dawk li jieħdu ħsiebhom jistgħu jinnettaw lilhom infushom ladarba jkunu tharrġu.

Fil-bidu tal-kura, Waylivra tingħata darba fil-ġimgħa. Wara 3 xhur, il-pazjenti li kellhom tnaqqis suffiċjenti fil-livell ta' trigliċeridi jistgħu jkomplu jirċievu l-mediċina darba kull ġimagħtejn. Il-frekwenza tal-injezzjonijiet terġa' tiġi aġġustata wara 6 u 9 xhur skont kemm qed taħdem tajjeb il-mediċina.

Peress li Waylivra jista' jnaqqas il-livelli tad-demem tal-pjastrini (komponenti li jgħinu biex id-demem jagħqad), il-livelli ta' pjastrini fid-demem għandhom jiġu kkontrollati regolarment, flimkien ma' kontrolli regolari tat-trigliċeridi biex wieħed jara kemm qed taħdem tajjeb il-mediċina. Skont ir-riżultati, il-frekwenza tal-injezzjonijiet tista' tiġi aġġustata, jew il-kura tintuża jew tieqaf.

Waylivra jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tkun taħt is-superviżjoni ta' tabib b'esperjenza fil-kura ta' FCS. Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Waylivra, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

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



Kif jaħdem Waylivra?

Is-sustanza attiva f'Waylira, volanesorsen, hija 'antisense oligonukleotide,' biċċa qasira ħafna ta' RNA sintetiku (tip ta' materjal ġenetiku). Is-sustanza attiva tfasslet biex timblokka l-produzzjoni ta' proteina li tnaqqas il-veloċità ta' xaħmijiet imsejha apolipoproteina C-III. Billi timblokka l-produzzjoni ta' din il-proteina, il-medicina tnaqqas il-livell ta' trigliċeridi fid-demm u, bħala riżultat, l-akkumulazzjoni ta' xaħam fil-ġisem, li hu mistenni jnaqqas ir-riskju ta' pankreatite.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Waylivra li ħarġu mill-istudji?

Waylivra kienet effettiva fit-tnaqqis tat-trigliċeridi fid-demm fi studju ta' 67 pazjent b'FCS. Wara 3 xhur, il-pazjenti li ngħataw Waylivra kellhom medja ta' tnaqqis ta' 77 % fil-livell ta' trigliċeridi meta mqabbla ma' tnaqqis medju ta' 18 % fil-pazjenti li ngħataw il-plaċebo (kura finta). Il-pazjenti kollha fl-istudju kienu fuq dieta b'livell baxx ta' xaħam minbarra li rċewew Waylivra jew plaċebo.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Waylivra?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Waylira huma livelli baxxi ta' pjastrini (li jistgħu jaffettwaw 4 minn kull 10) u reazzjonijiet fis-sit tal-injezzjoni bħal uġiġħ, nefha, ħakk, jew tbengil (li jistgħu jaffettwaw 8 minn kull 10).

Waylivra ma għandux jintuża f'pazjenti li għandhom tromboċitopenja mhux spjegata fit-tul (livelli baxxi ta' pjastrini fid-demm).

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Waylivra, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Waylivra huwa awtorizzat fl-UE?

Waylivra effettivament inaqas il-livelli ta' trigliċeridi u hu mistenni jnaqqas ir-riskju ta' pankreatite f'pazjenti b'FCS. Ir-riskju ewlieni b'din il-medicina huwa tromboċitopenija li, meta tkun severa, tista' twassal għal fsada. Il-pazjenti għandhom għalhekk jiġu mmonitorjati mill-qrib u l-frekwenza tal-injezzjonijiet tiġi aġġustata jekk ikun hemm bżonn.

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddeċidiet li, għall-pazjenti b'riskju għoli ta' pankreatite u li għalihom medicini oħra u dieta bi ftit xaħam ma ħadmux tajjeb biżżejjed, il-benefiċċji ta' Waylivra huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Waylivra ngħata 'awtorizzazzjoni kondizzjonali'. Dan ifisser li għad hemm iktar evidenza x'tingħata dwar il-medicina, li l-kumpanija hija mitluba tipprovdi. Kull sena, l-Aġenzija ser tirrevedi kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u din il-ħarsa ġenerali ser tiġi aġġornata kif meħtieġ.

Liema informazzjoni għadha mistennija għal Waylivra?

Peress li Waylivra ngħata awtorizzazzjoni kondizzjonali, il-kumpanija li tikkummerċjalizza Waylivra ser tipprovdi riżultati ta' studju bbażat fuq registru ta' pazjenti biex tinvestiga kif il-verifiki tad-demm u l-aġġustamenti għall-frekwenza tal-injezzjonijiet jitwettqu fil-prattika u kemm jaħdmu tajjeb biex jipprevjenu tromboċitopenija u fsada.

X'miżuri qeghdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Waylivra?

Il-kumpanija li tikkummerċjalizza Waylivra se tipprovdi materjal edukattiv għall-pazjenti u l-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa b'informazzjoni dwar ir-riskju tat-tromboċitopenija u fsada b'kura u l-importanza li l-livelli tal-pjastrini fil-pazjenti jiġu ċċekkjati b'mod regolari.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Waylivra.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-data dwar l-użu ta' Waylivra hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Waylivra huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Waylivra

Aktar informazzjoni dwar Waylivra tinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija:

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