



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsen*)

Een overzicht van Waylivra en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Waylivra en wanneer wordt het voorgeschreven?

Waylivra is een geneesmiddel dat gebruikt wordt voor de behandeling van familiaal chylomicronemiesyndroom (FCS), een genetische aandoening die leidt tot sterk verhoogde waarden van triglyceriden (vetten) in het bloed. Overtollig vet hoopt zich op in verschillende delen van het lichaam en leidt tot symptomen zoals abdominale pijn (buikpijn), vetafzetting onder de huid en pancreatitis (ontsteking van de pancreas).

Waylivra wordt in combinatie met een vetarm dieet gebruikt om triglyceridenconcentraties in het bloed te verlagen bij patiënten met FCS dat bevestigd is door genetische tests. Het wordt uitsluitend toegediend aan patiënten bij wie andere geneesmiddelen om de triglyceridenconcentratie te verlagen, niet hebben gewerkt en die een groot risico lopen om pancreatitis te ontwikkelen.

FCS is zeldzaam, en Waylivra werd op 19 februari 2014 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel kan hier worden gevonden: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra bevat de werkzame stof volanesorsen.

Hoe wordt Waylivra gebruikt?

Waylivra is verkrijgbaar als een oplossing voor injectie onder de huid. Patiënten of hun zorgverleners kunnen Waylivra zelf thuis injecteren zodra ze hierin voldoende zijn geoefend.

Aan het begin van de behandeling wordt Waylivra eenmaal per week toegediend. Na drie maanden kunnen patiënten bij wie de triglyceridenconcentratie voldoende verlaagd is, de toediening van het geneesmiddel voortzetten met een frequentie van eenmaal per twee weken. De injectiefrequentie wordt na zes en na negen maanden opnieuw aangepast afhankelijk van de werking van het geneesmiddel.

Omdat Waylivra de bloedplaatjesspiegel (bloedbestanddelen die het bloed helpen stollen) kan verlagen, moet deze regelmatig gecontroleerd worden, naast regelmatige controles van de triglyceridenconcentratie om te zien hoe goed het geneesmiddel werkt. Afhankelijk van de resultaten kan de injectiefrequentie worden aangepast of de behandeling worden onderbroken dan wel stopgezet.

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



Waylivra is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gecontroleerd door een arts die ervaring heeft met de behandeling van FCS. Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Waylivra.

Hoe werkt Waylivra?

De werkzame stof in Waylivra, volanesorsen, is een 'antisense oligonucleotide', een heel kort stukje synthetisch RNA (een vorm van genetisch materiaal). Het is ontworpen om de productie van apolipoproteïne C-III, een eiwit dat de afbraak van vetten afremt, te blokkeren. Hierdoor verlaagt het geneesmiddel de triglyceridenconcentratie in het bloed en zodoende vetophoping in het lichaam, waardoor het risico op pancreatitis naar verwachting afneemt.

Welke voordelen bleek Waylivra tijdens de studies te hebben?

In een studie onder 67 patiënten met FCS bleek Waylivra effectief in het verminderen van de triglyceriden in het bloed. Na drie maanden vertoonden de patiënten die Waylivra kregen een gemiddelde daling van 77% in de triglyceridenconcentratie, vergeleken met een gemiddelde verlaging van 18% bij de patiënten die placebo (een schijnbehandeling) kregen. Naast de toediening van Waylivra dan wel placebo volgden alle patiënten in de studie een vetarm dieet.

Welke risico's houdt het gebruik van Waylivra in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Waylivra zijn een verlaagde bloedplaatjesspiegel (die bij meer dan 4 op de 10 personen kan optreden) en reacties op de injectieplaats (die bij meer dan 8 op de 10 personen kunnen optreden) zoals pijn, zwelling, jeuk of blauwe plekken.

Waylivra mag niet gebruikt worden bij patiënten met een langdurige of onverklaarbare trombocytopenie (lage bloedplaatjesspiegel).

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Waylivra.

Waarom is Waylivra geregistreerd in de EU?

Waylivra is werkzaam voor het verlagen van de triglyceridenconcentratie en verlaagt naar verwachting het risico op pancreatitis bij patiënten met FCS. Het voornaamste risico met dit geneesmiddel is trombocytopenie die, indien ernstig, kan leiden tot bloedingen. Patiënten moeten daarom nauwlettend worden gevolgd en, indien nodig, moet de frequentie van de injecties worden aangepast.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat voor patiënten met een hoog risico op pancreatitis en bij wie andere geneesmiddelen en een vetarm dieet niet goed genoeg gewerkt hebben, de voordelen van Waylivra groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Aan Waylivra is 'voorwaardelijke registratie' verleend. Dit betekent dat er nog meer informatie over het geneesmiddel zal volgen, die door het bedrijf moet worden verstrekt. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Waylivra?

Aangezien aan Waylivra 'voorwaardelijke registratie' is verleend, zal het bedrijf dat Waylivra op de markt brengt de resultaten overleggen van een studie op basis van een patiëntenregister. In deze

studie wordt onderzocht hoe bloedonderzoeken en aanpassingen van de injectiefrequentie in praktijk worden uitgevoerd en hoe goed dit werkt om trombocytopenie en bloedingen te voorkomen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Waylivra te waarborgen?

Het bedrijf dat Waylivra op de markt brengt, zal voorlichtingsmateriaal verstrekken voor patiënten en professionele zorgverleners met informatie over het risico op trombocytopenie en bloedingen met deze behandeling en over het belang van regelmatige controle van de bloedplaatjesspiegel van de patiënten.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Waylivra, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Waylivra continu gevolgd. Waargenomen bijwerkingen voor Waylivra worden nauwkeurig geëvalueerd en, indien nodig, wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Waylivra

Meer informatie over Waylivra is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.