



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*wolanesorsen*)

Przegląd wiedzy na temat leku Waylivra i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Co to jest lek Waylivra i w jakim celu się go stosuje

Waylivra jest lekiem stosowanym w leczeniu rodzinnego zespołu chylomikronemii (ang. *familial chylomicronaemia syndrome*, FSC), choroby genetycznej prowadzącej do wysokiego poziomu tłuszczów o nazwie trójglicerydy we krwi. Nadmiar tłuszczu odkłada się w różnych częściach ciała i prowadzi do takich objawów jak ból brzucha, osadzanie się tłuszczu pod skórą i zapalenie trzustki.

Lek Waylivra, wraz z dietą o niskiej zawartości tłuszczu, stosuje się do obniżenia poziomu trójglicerydów we krwi u pacjentów z FSC potwierdzonym badaniami genetycznymi. Lek podaje się wyłącznie pacjentom, u których inne leki mające na celu obniżenie poziomu trójglicerydów nie zadziałały i u których istnieje wysokie ryzyko wystąpienia zapalenia trzustki.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z FSC choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 19 lutego 2014 r. lek Waylivra uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj:

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

Lek Waylivra zawiera substancję czynną wolanesorsen.

Jak stosować lek Waylivra

Lek Waylivra jest dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań pod skórę, a po przejściu odpowiedniego szkolenia pacjenci lub ich opiekunowie mogą być w stanie samodzielnie wstrzykiwać lek.

Na początku leczenia lek Waylivra podaje się raz w tygodniu. Po 3 miesiącach pacjenci, u których nastąpił wystarczający spadek poziomu trójglicerydów, mogą nadal otrzymywać lek co 2 tygodnie. Częstotliwość wstrzyknięć jest ponownie dostosowywana po 6 i 9 miesiącach w zależności od tego, jak dobrze działa lek.

Ze względu na to, że Waylivra może obniżyć poziom płytek krwi (składniki umożliwiające krzepnięcie krwi), oprócz regularnych kontroli trójglicerydów należy regularnie kontrolować poziom płytek krwi u pacjentów, aby sprawdzić, jak dobrze działa lek. W zależności od wyników należy dostosować częstotliwość wstrzyknięć albo wstrzymać podawanie leku lub zaprzestać leczenia.

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



Lek Waylivra jest wydawany na receptę, a leczenie tym lekiem powinno być prowadzone pod nadzorem lekarza z doświadczeniem w leczeniu FCS. Więcej informacji o sposobie stosowania leku Waylivra znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Waylivra

Substancja czynna leku Waylivra, wolanosorsen, to antysensowny oligonukleotyd, bardzo krótki fragment syntetycznego RNA (rodzaj materiału genetycznego). Został tak zaprojektowany, by blokował produkcję białka, które spowalnia rozpad tłuszczów, o nazwie apolipoproteina C-III. Blokując produkcję tego białka, lek obniża poziom trójglicerydów we krwi, a w rezultacie akumulację tłuszczu w organizmie, co powinno zmniejszyć ryzyko zapalenia trzustki.

Korzyści ze stosowania leku Waylivra wykazane w badaniach

Waylivra skutecznie zmniejszyła poziom trójglicerydów we krwi w badaniu 67 pacjentów z FSC. Po 3 miesiącach u pacjentów, którym podawano lek Waylivra, wykazano średnio 77% spadek poziomu trójglicerydów w porównaniu ze średnim spadkiem o 18% u pacjentów, którym podawano placebo (leczenie pozorowane). Oprócz przyjmowania leku Waylivra lub placebo wszyscy pacjenci w badaniu stosowali dietę niskotłuszczową.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Waylivra

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Waylivra to obniżenie poziomu płytek krwi (mogące wystąpić u 4 na 10 pacjentów) oraz reakcje w miejscu wstrzyknięcia, takie jak ból, obrzęk, swędzenie lub zasinienie lub stłuczenie (mogące wystąpić u 8 na 10 pacjentów).

Leku Waylivra nie wolno stosować u pacjentów, którzy mają długotrwałą lub niewyjaśnioną małopłytkowość (niski poziom płytek krwi).

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Waylivra znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Waylivra w UE

Waylivra skutecznie zmniejsza poziom trójglicerydów i powinna ograniczyć ryzyko zapalenia trzustki u pacjentów z FSC. Główne ryzyko związane ze stosowaniem tego leku to małopłytkowość, która – jeśli ciężka – może doprowadzić do krwawienia. W związku z tym należy ściśle monitorować pacjentów i w razie potrzeby dostosowywać częstotliwość wstrzyknięć.

Europejska Agencja Leków postanowiła, że w przypadku pacjentów o wysokim ryzyku zapalenia trzustki, u których inne leki oraz niskotłuszczowa dieta nie działały wystarczająco dobrze, korzyści płynące ze stosowania leku Waylivra przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Waylivra uzyskał „warunkowe dopuszczenie do obrotu”. Oznacza to, że będą gromadzone dodatkowe informacje na temat tego leku, które firma ma obowiązek dostarczyć. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Waylivra

W związku z tym, że lek Waylivra uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu, firma wprowadzająca lek Waylivra do obrotu przedstawi wyniki badania opartego na rejestrze pacjentów w celu zbadania, w

jaki sposób przeprowadzane są w praktyce kontrole krwi i korekty częstotliwości wstrzyknięć, a także jak sprawdzają się one w celu zapobiegania powstawaniu małopłytkowości i krwawienia.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Waylivra

Firma, która wprowadza Waylivra do obrotu, dostarczy pacjentom i pracownikom służby zdrowia materiały edukacyjne zawierające informacje na temat ryzyka wystąpienia małopłytkowości i krwawienia w związku z leczeniem oraz na temat znaczenia regularnej kontroli poziomu płytek krwi u pacjentów.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Waylivra w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Waylivra są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Waylivra są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Waylivra

Dalsze informacje na temat leku Waylivra znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.