



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Waylivra (*volanesorseno*)

Um resumo sobre Waylivra e porque está autorizado na UE

### O que é Waylivra e para que é utilizado?

Waylivra é um medicamento utilizado no tratamento da síndrome de quilomicronemia familiar (SQF), uma doença genética que dá origem a níveis elevados de gorduras (triglicéridos) no sangue. A gordura em excesso acumula-se em várias partes do corpo e causa sintomas, incluindo dor abdominal (dor de barriga), depósitos de gordura sob a pele e pancreatite (inflamação do pâncreas).

Waylivra, juntamente com uma dieta de baixo teor de gordura, é utilizado para reduzir os níveis de triglicéridos no sangue em doentes com SQF confirmada por testes genéticos. O medicamento só é administrado em doentes nos quais outros medicamentos para redução de triglicéridos não tenham funcionado e que corram um risco elevado de desenvolver pancreatite.

A SQF é uma doença rara, e Waylivra foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 19 de fevereiro de 2014. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249).

Waylivra contém a substância ativa volanesorseno.

### Como se utiliza Waylivra?

Waylivra está disponível na forma de solução injetável sob a pele, que os doentes ou os seus prestadores de cuidados podem administrar após treino adequado.

No início do tratamento, Waylivra é administrado uma vez por semana. Após 3 meses, os doentes em que se tenha observado uma redução suficiente no nível de triglicéridos podem continuar a receber o medicamento uma vez em cada 2 semanas. A frequência das injeções é ajustada novamente após 6 e 9 meses, dependendo de como o medicamento está a funcionar.

Uma vez que Waylivra pode reduzir os níveis de plaquetas (componentes que ajudam o sangue a coagular), os níveis de plaquetas no sangue dos doentes devem ser controlados regularmente, para além dos controlos regulares dos triglicéridos, a fim de verificar a eficácia do medicamento. Dependendo dos resultados, a frequência das injeções pode ser ajustada ou o tratamento suspenso ou descontinuado.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento da SQF. Para mais informações sobre a utilização de Waylivra, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

## **Como funciona Waylivra?**

A substância ativa do Waylivra, o volanesorseno, é um oligonucleótido antisense, um fragmento muito pequeno de ARN sintético (um tipo de material genético). Foi concebido para bloquear a produção de uma proteína que abranda a degradação de gorduras chamada apolipoproteína C-III. Ao bloquear a produção desta proteína, o medicamento reduz o nível de triglicéridos no sangue e, conseqüentemente, a acumulação de gordura no organismo, prevendo-se assim que reduza o risco de pancreatite.

## **Quais os benefícios demonstrados por Waylivra durante os estudos?**

Waylivra foi eficaz na redução de triglicéridos no sangue num estudo que incluiu 67 doentes com SQF. Após 3 meses, os doentes que receberam Waylivra apresentaram uma redução média de 77 % do nível de triglicéridos, em comparação com uma redução média de 18 % nos doentes que receberam um placebo (um tratamento simulado). Todos os doentes incluídos no estudo faziam uma dieta com baixo teor de gordura, para além de receberem Waylivra ou placebo.

## **Quais são os riscos associados a Waylivra?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Waylivra são níveis de plaquetas reduzidos (que podem afetar 4 em 10 pessoas) e reações no local da injeção, tais como dor, inchaço, comichão ou nódulos negros (que podem afetar 8 em cada 10 pessoas).

O uso de Waylivra é contraindicado em doentes com trombocitopenia crónica ou inexplicável (níveis de plaquetas baixos).

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização relativamente a Waylivra, consulte o Folheto Informativo.

## **Porque está Waylivra autorizado na UE?**

Waylivra reduz efetivamente os níveis de triglicéridos e espera-se que reduza o risco de pancreatite em doentes com SQF. O principal risco associado a este medicamento é a trombocitopenia, que, quando grave, pode provocar a ocorrência de hemorragias. Os doentes devem, por conseguinte, ser monitorizados e a frequência das injeções ajustada, se necessário.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que, para os doentes com elevado risco de pancreatite e para os quais outros medicamentos e uma dieta com baixo teor de gordura não tenham funcionado suficientemente bem, os benefícios de Waylivra são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Foi concedida a Waylivra uma autorização condicional. Isto significa que se aguardam dados adicionais sobre este medicamento, que a empresa está obrigada a fornecer. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

## **Que informação ainda se aguarda sobre Waylivra?**

Uma vez que Waylivra recebeu uma autorização condicional, a empresa que comercializa Waylivra fornecerá os resultados de um estudo baseado num registo dos doentes para investigar a forma como

são realizados na prática os controlos do sangue e a adaptação da frequência das injeções, bem como o seu bom funcionamento para evitar trombocitopenia e hemorragias.

### **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Waylivra?**

A empresa que comercializa Waylivra fornecerá materiais educacionais aos doentes e profissionais de saúde com informações sobre o risco de trombocitopenia e hemorragias com tratamento e a importância de controlar regularmente os níveis de plaquetas nos doentes.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Waylivra.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Waylivra são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Waylivra são cuidadosamente avaliados e são tomadas todas as medidas necessárias para proteger os doentes.

### **Outras informações sobre Waylivra:**

Mais informações sobre Waylivra podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra).