



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsen*)

O prezentare generală a Waylivra și de ce este autorizat acest medicament în UE

Ce este Waylivra și pentru ce se utilizează?

Waylivra este un medicament utilizat pentru tratarea sindromului chilomicronemiei familiale (SCF), o afecțiune genetică care determină niveluri ridicate de grăsimi în sânge, numite trigliceride. Excesul de grăsime se acumulează în diferite părți ale corpului și duce la simptome cum ar fi dureri abdominale (de burtă), depuneri de grăsime sub piele și pancreatită (inflamarea pancreasului).

Waylivra, împreună cu un regim alimentar sărac în grăsimi, se utilizează pentru a reduce nivelurile din sânge ale trigliceridelor la pacienții cu SCF confirmat prin teste genetice. Se administrează doar la pacienții la care nu au avut efect alte medicamente pentru scăderea trigliceridelor și la care riscul de pancreatită este mare.

SCF este rar, iar Waylivra a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 19 februarie 2014. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra conține substanța activă volanesorsen.

Cum se utilizează Waylivra?

Waylivra este disponibil sub formă de soluție injectabilă subcutanat, pe care pacienții sau îngrijitorii lor o pot administra singuri după o instruire prealabilă.

La începutul tratamentului, Waylivra se administrează o dată pe săptămână. După 3 luni, pacienții la care trigliceridele au scăzut suficient pot continua să primească medicamentul o dată la 2 săptămâni. Frecvența injecțiilor este ajustată din nou după 6 și 9 luni, în funcție de efectul medicamentului.

Deoarece Waylivra poate reduce nivelul din sânge al trombocitelor (componente care ajută la coagularea sângelui), nivelurile de trombocite ale pacienților trebuie controlate regulat, în plus față de controlul periodic al trigliceridelor, pentru a vedea cât de bine acționează medicamentul. În funcție de rezultate, se poate ajusta frecvența injecțiilor sau se poate întrerupe sau opri tratamentul.

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 se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și tratamentul trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul SCF. Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Waylivra, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Waylivra?

Substanța activă din Waylivra, volanesorsenul, este o „oligonucleotidă antisens”, o bucată foarte scurtă de ARN sintetic (un tip de material genetic). A fost concepută pentru a bloca producerea unei proteine care încetinește descompunerea grăsimilor, numită apolipoproteina C-III. Blocând producerea acestor proteine, medicamentul reduce nivelul trigliceridelor din sânge și, în consecință, acumularea de grăsimi în organism, ceea ce este de așteptat să reducă riscul de pancreatită.

Ce beneficii a prezentat Waylivra pe parcursul studiilor?

Waylivra a fost eficace în scăderea trigliceridelor din sânge într-un studiu efectuat pe 67 de pacienți cu SCF. După 3 luni, pacienții cărora li s-a administrat Waylivra au avut o reducere medie de 77 % a nivelului de trigliceride, față de o reducere medie de 18 % la pacienții cărora li s-a administrat placebo (un preparat inactiv). Toți pacienții din studiu urmau un regim alimentar sărac în grăsimi, pe lângă administrarea de Waylivra sau placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Waylivra?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Waylivra sunt niveluri reduse de trombocite (care pot afecta 4 persoane din 10) și reacții la locul injectării, cum ar fi durere, tumefiere, mâncărime sau echimoze (care pot afecta 8 persoane din 10).

Waylivra este contraindicat la pacienții cu trombocitopenie de lungă durată sau inexplicabilă (niveluri scăzute de trombocite).

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Waylivra, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Waylivra în UE?

Waylivra reduce efectiv nivelurile de trigliceride și se preconizează că reduce riscul de pancreatită la pacienții cu SCF. Principalul risc pe care îl prezintă acest medicament este trombocitopenia care, atunci când este severă, poate duce la sângerare. Prin urmare, pacienții trebuie urmăriți îndeaproape, iar frecvența injecțiilor trebuie ajustată, dacă este necesar.

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că, pentru pacienții cu risc mare de pancreatită și la care alte medicamente și un regim alimentar sărac în grăsimi nu au funcționat suficient de bine, beneficiile Waylivra sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Waylivra a primit „autorizare condiționată”. Aceasta înseamnă că sunt așteptate dovezi suplimentare despre acest medicament, pe care compania are obligația să le furnizeze. În fiecare an, agenția va analiza orice informație nou apărută, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Waylivra?

Având în vedere că Waylivra a primit autorizație condiționată, compania care comercializează Waylivra va furniza rezultatele unui studiu bazat pe un registru de pacienți, pentru a analiza modul în care sunt efectuate în practică analizele de sânge și ajustările de frecvență ale injecțiilor și cât de bine reușesc acestea să prevină trombocitopenia și sângerarea.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Waylivra?

Compania care comercializează Waylivra va furniza pacienților și profesioniștilor din domeniul sănătății materiale educaționale cu informații despre riscul de trombocitopenie și sângerare asociat tratamentului și despre importanța controlului periodic al nivelurilor de trombocite la pacienți.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Waylivra, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Waylivra sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Waylivra sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Waylivra

Informații suplimentare cu privire la Waylivra sunt disponibile pe site-ul Agenției:

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