



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Waylivra (*volanesorsen*)

Prehľad o lieku Waylivra a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Waylivra a na čo sa používa?

Waylivra je liek, ktorý sa používa na liečbu geneticky potvrdeného syndrómu chylomikronémie (FCS), genetického ochorenia, ktoré spôsobuje vysokú hladinu tukov v krvi nazývaných triglyceridy. Nadmerný tuk sa hromadí v rôznych častiach tela a spôsobuje príznaky vrátane bolesti brucha, podkožné ložiská tuku a pankreatitídu (zápal pankreasu).

Spolu s nízkotučnou diétou sa liek Waylivra používa na zníženie hladiny triglyceridov v krvi u pacientov s FCS, ktorý sa potvrdil na základe genetického testovania. Podáva sa len pacientom, u ktorých neúčinkovali iné lieky na zníženie triglyceridov a u ktorých hrozí vysoké riziko vzniku pankreatitídy.

FCS je zriedkavý, a preto bol liek Waylivra dňa 19. februára 2014 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia („orphan medicine“). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249).

Liek Waylivra obsahuje liečivo volanesorsen.

### Ako sa liek Waylivra používa?

Liek Waylivra je dostupný vo forme injekčného roztoku na podávanie pod kožu, ktorý si pacienti po náležitom zaškolení môžu podávať sami, resp. im ho po takomto zaškolení môžu podávať ich opatrovatelia.

Na začiatku liečby sa liek Waylivra podáva raz týždenne. Po troch mesiacoch môžu pacienti, u ktorých došlo k dostatočnému zníženiu hladiny triglyceridov, liek ďalej dostávať raz za dva týždne. Frekvencia injekcií sa opätovne upraví po 6 a 9 mesiacoch v závislosti od toho, ako dobre liek účinkuje.

Kedže liek Waylivra môže znížiť počet krvných doštičiek (zložiek krvi, ktoré pomáhajú pri zrážaní krvi), okrem pravidelných kontrol hladiny triglyceridov sa má pravidelne kontrolovať počet krvných doštičiek u pacientov, aby sa zistilo, ako dobre liek účinkuje. V závislosti od výsledkov sa môže upraviť frekvencia injekcií, alebo sa môže liečba prerušiť alebo zastaviť.

Výdaj lieku Waylivra je viazaný na lekársky predpis a na liečbu má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou FCS. Viac informácií o používaní lieku Waylivra si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

---

**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



## **Akým spôsobom liek Waylivra účinkuje?**

Liečivo lieku Waylivra, volanesorsen, je tzv. antisense oligonukleoid, veľmi krátky kúsok syntetickej RNA (typu genetického materiálu). Bolo navrhnuté tak, aby blokovalo produkciu proteínu, ktorý spomaľuje rozklad tukov nazývaných apolipoproteín C-III. Zablokovaním produkcie tohto proteínu liek znižuje hladinu triglyceridov v krvi, a tým aj hromadenia tuku v tele, čo pravdepodobne znižuje riziko vzniku pankreatitídy.

## **Aké prínosy lieku Waylivra boli preukázané v štúdiách?**

V štúdií, na ktorej sa zúčastnilo 67 pacientov s FCS, bol liek Waylivra účinný pri znižovaní triglyceridov v krvi. Po troch mesiacoch sa u pacientov používajúcich liek Waylivra pozorovalo priemerné zníženie hladiny triglyceridov o 77 % v porovnaní s priemerných znížením o 18 % u pacientov, ktorým sa podávalo placebo (zdanlivý liek). Okrem podávania lieku Waylivra alebo placebo bola všetkým pacientom v tejto štúdií predpísaná nízkoenergetická diéta.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Waylivra?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Waylivra sú znížený počet krvných doštičiek (ktorý môže postihnúť 4 ľudí z 10) a reakcie v mieste vpichu injekcie, ako je bolesť, opuch, svrbenie alebo modrina (ktoré môžu postihnúť 8 ľudí z 10).

Liek Waylivra sa nesmie používať v prípade pacientov s dlhodobou alebo nevysvetlenou trombocytopeniou (nízkou hladinou krvných doštičiek).

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení pri používaní lieku Waylivra sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol liek Waylivra povolený v EÚ?**

Liek Waylivra účinne znižuje hladinu triglyceridov a predpokladá sa, že znižuje riziko vzniku pankreatitídy u pacientov s FCS. Hlavným rizikom tohto lieku je trombocytopenia, ktorá, ak je závažná, môže spôsobovať krvácanie. Je preto nevyhnutné, aby sa pacienti pozorne sledovali a aby sa podľa potreby upravila frekvencia injekcií.

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že v prípade pacientov s vysokým rizikom vzniku pankreatitídy a v prípade tých, u ktorých nízkoenergetická diéta dostatočne neúčinkovala, sú prínosy lieku Waylivra väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Liek Waylivra bol povolený s tzv. podmienkou. To znamená, že sa čaká na ďalšie dôkazy o lieku, ktoré musí spoločnosť predložiť. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

## **Aké informácie o lieku Waylivra dosiaľ neboli predložené?**

Keďže liek Waylivra bol povolený s podmienkou, spoločnosť, ktorá liek Waylivra uvádza na trh, predložila výsledky štúdie založenej na registri pacientov s cieľom preskúmať, ako sa v praxi vykonávajú krvné testy a úpravy frekvencie injekcií a ako účinkujú pri prevencii vzniku trombocytopenie a krvácania.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Waylivra?**

Spoločnosť, ktorá liek Waylivra uvádza na trh, predloží vzdelávacie materiály pre pacientov a zdravotníckych pracovníkov s informáciami o riziku vzniku trombocytopenie a krvácania pri liečbe, ako aj význam pravidelnej kontroly počtu krvných doštičiek u pacientov.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Waylivra boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Waylivra sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Waylivra sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Waylivra**

Ďalšie informácie o lieku Waylivra sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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