



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsen*)

Pregled zdravila Waylivra in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Waylivra in za kaj se uporablja?

Waylivra je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje sindroma družinske hilomikronemije (FCS), tj. genetskega stanja, ki povzroča visoko raven maščob, imenovanih trigliceridi, v krvi. Presežna maščoba se kopiči v različnih delih telesa in pri tem povzroča simptome, kot so bolečine v trebuhu, nalaganje maščobe pod kožo in pankreatitis (vnetje trebušne slinavke).

Zdravilo Waylivra, se skupaj s prehrano z nizko vsebnostjo maščob, uporablja za zmanjšanje ravni trigliceridov v krvi pri bolnikih s FCS, ki je bil potrjen z genetskim testiranjem. Prejemajo ga lahko samo bolniki, pri katerih druga zdravila za zmanjšanje trigliceridov niso delovala in pri katerih obstaja veliko tveganje za razvoj pankreatitisa.

FCS je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Waylivra 19. februarja 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Zdravilo Waylivra vsebuje učinkovino volanesorsen.

Kako se zdravilo Waylivra uporablja?

Zdravilo Waylivra je na voljo kot raztopina za injiciranje pod kožo, ki jo bolniki ali njihovi negovalci po ustreznem usposabljanju lahko injicirajo sami.

Na začetku zdravljenja se zdravilo Waylivra daje enkrat na teden. Po treh mesecih lahko bolniki, pri katerih so se ravni trigliceridov zadostno znižale, zdravilo prejemajo vsaka dva tedna. Pogostost injiciranja se ponovno prilagodi po šestih in devetih mesecih, odvisno od tega, kako dobro zdravilo deluje.

Ker lahko zdravilo Waylivra zniža ravni trombocitov (komponent, ki pomagajo pri strjevanju krvi) v krvi, je treba poleg rednih pregledov trigliceridov, redno preverjati tudi bolnikove ravni trombocitov v krvi, da se ugotovi, kako dobro zdravilo deluje. Glede na rezultate je mogoče pogostost injiciranja prilagoditi ali zdravljenje začasno prekiniti ali ukiniti.

Izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem FCS. Za več informacij glede uporabe zdravila Waylivra glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

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



Kako zdravilo Waylivra deluje?

Učinkovina v zdravilu Waylivra, volanesorsen, je „protismerni oligonukleotid“, zelo kratek košček sintetične RNK (vrste genskega materiala). Zasnovan je bil tako, da zavira tvorjenje beljakovine, ki upočasnjuje razgradnjo maščob, imenovane apolipoprotein C-III. Z zaviranjem tvorjenja te beljakovine zdravilo zmanjša ravni trigliceridov v krvi in s tem kopičenje maščobe v telesu, kar naj bi zmanjšalo tveganje za pankreatitis.

Kakšne koristi je zdravilo Waylivra izkazalo v študijah?

Zdravilo Waylivra je bilo v študiji, v katero je bilo vključenih 67 bolnikov s FCS, uspešno pri zmanjšanju trigliceridov v krvi. Po treh mesecih so se pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Waylivra, ravni trigliceridov v povprečju zmanjšale za 77 % v primerjavi s povprečnim zmanjšanjem za 18 % pri bolnikih, ki so prejeli placebo (zdravilo brez zdravilne učinkovine). Vsi bolniki v študiji so poleg jemanja zdravila Waylivra ali placeba uživali tudi hrano z nizko vsebnostjo maščobe.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Waylivra?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Waylivra so zmanjšane ravni trombocitov (ki se lahko pojavijo pri 4 od 10 bolnikov) in reakcije na mestu injiciranja, kot so bolečina, otekanje, srbenje ali podplutbe (ki se lahko pojavijo pri 8 od 10 bolnikov).

Zdravilo Waylivra se ne sme uporabljati pri bolnikih, ki imajo dolgotrajno ali nepojasnjeno trombocitopenijo (nizke ravni trombocitov v krvi).

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Waylivra glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je zdravilo Waylivra odobreno v EU?

Zdravilo Waylivra učinkovito zniža ravni trigliceridov in pričakuje se, da bo pri bolnikih z FCS zmanjšalo tveganje za pankreatitis. Glavno tveganje pri tem zdravilu je trombocitopenija, ki lahko, kadar je huda, povzroči krvavitve. Zato je treba bolnike pozorno spremljati in po potrebi prilagoditi število injiciranj.

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Waylivra za bolnike, pri katerih obstaja veliko tveganje za pankreatitis in pri katerih druga zdravila in prehrana z nizko vrednostjo maščob niso dovolj učinkoviti, večje od z njim povezanih tveganj, in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Waylivra je pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“. To pomeni, da se pričakujejo dodatni dokazi o zdravilu, ki jih mora zagotoviti podjetje. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta pregled.

Katere informacije o zdravilu Waylivra še pričakujemo?

Ker je zdravilo Waylivra pridobilo pogojno dovoljenje, bo podjetje, ki ga trži, zagotovilo rezultate študije na podlagi registra bolnikov, s katero bo preučeno, kako se krvni pregledi in prilagoditve pogostosti injiciranja izvajajo v praksi ter kako dobro delujejo pri preprečevanju trombocitopenije in krvavitev.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Waylivra?

Podjetje, ki trži zdravilo Waylivra, bo priskrbelo izobraževalno gradivo za bolnike in zdravstvene delavce z informacijami o tveganju za trombocitopenijo in krvavitve pri zdravljenju ter pomenu rednega preverjanja ravni trombocitov pri bolnikih.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Waylivra upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Waylivra stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Waylivra, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Waylivra

Nadaljnje informacije o zdravilu Waylivra so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.