



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waylivra (*volanesorsen*)

Sammanfattning av Waylivra och varför det är godkänt inom EU

Vad är Waylivra och vad används det för?

Waylivra är ett läkemedel som används för att behandla familjär kylomikronemi (FCS, familial chylomicronemia syndrome), en genetisk sjukdom som ger upphov till höga nivåer av fetter som kallas triglycerider i blodet. Överskott av fett byggs upp i olika delar av kroppen och leder till symtom, inklusive buksmärta, fettdepåer under huden och pankreatit (inflammation i bukspottkörteln).

Waylivra används tillsammans med fettsnål kost för att minska triglyceridnivåerna hos patienter med FCS som har bekräftats genom gentestning. Det ges bara till patienter hos vilka andra läkemedel för att minska nivåerna av triglycerider inte har verkat och som har hög risk för att utveckla pankreatit.

FCS är sällsynt och Waylivra klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 19 februari 2014. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249.

Waylivra innehåller den aktiva substansen volanesorsen.

Hur används Waylivra?

Waylivra finns som en lösning för injektion under huden, som patienterna själva eller deras vårdare kan injicera efter att de har fått instruktioner.

I början av behandlingen ges Waylivra en gång i veckan. Efter tre månader kan patienter som har haft en tillräcklig minskning av triglyceridnivåerna fortsätta ta läkemedlet en gång varannan vecka. Injektionsfrekvensen justeras igen efter 6 och 9 månader beroende på hur väl läkemedlet fungerar.

Eftersom Waylivra kan minska nivåerna av blodplättar (komponenter som hjälper blodet att koagulera) bör patienternas blodplättsnivåer regelbundet kontrolleras, utöver regelbundna kontroller av triglycerider för att se hur väl läkemedlet fungerar. Beroende på resultaten kan injektionsfrekvensen justeras, eller så kan behandlingen avbrytas tillfälligt eller permanent.

Waylivra är receptbelagt och behandlingen ska övervakas av en läkare som har erfarenhet av att behandla FCS. För mer information om hur du använder Waylivra, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Waylivra?

Den aktiva substansen i Waylivra, volanesorsen, är en s.k. antisens-oligonukleotid, en mycket kort del av syntetiskt RNA (en typ av genetiskt material). Den har utformats för att blockera produktionen av ett protein som bromsar nedbrytningen av fetter som kallas apolipoprotein C-III. Genom att blockera bildandet av detta protein minskar läkemedlet nivån av triglycerider i blodet och därmed ansamlingen av fett i kroppen, vilket förväntas minska risken för pankreatit.

Vilka fördelar med Waylivra har visats i studierna?

Waylivra var effektivt för att minska triglyceriderna i blodet i en studie på 67 patienter med FCS. Efter tre månader minskade triglyceridnivåerna med i genomsnitt 77 procent hos patienter som fick Waylivra, jämfört med i genomsnitt 18 procent hos patienter som fick placebo (overksam behandling). Förutom att de fick Waylivra eller placebo åt alla patienter i studien även en fettsnål kost.

Vilka är riskerna med Waylivra?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Waylivra är minskade nivåer av blodplättar (kan uppträda hos 4 av 10 personer) och reaktioner på injektionsstället, t.ex. smärta, svullnad, klåda eller blåmärken (kan uppträda hos 8 av 10 personer).

Waylivra får inte ges till patienter som har långvarig eller oförklarlig trombocytopeni (låga nivåer av blodplättar).

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Waylivra finns i bipacksedeln.

Varför är Waylivra godkänt i EU?

Waylivra minskar effektivt triglyceridnivåerna och förväntas minska risken för pankreatit hos patienter med FCS. Den största risken med detta läkemedel är trombocytopeni, som om den är allvarlig kan leda till blödningar. Patienterna måste därför övervakas noggrant och injektionsfrekvensen justeras vid behov.

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att fördelarna med Waylivra är större än riskerna för patienter med hög risk för pankreatit hos vilka andra läkemedel och fettsnål kost inte har fungerat tillräckligt väl och att Waylivra kan godkännas för användning i EU.

Waylivra har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det ska komma in ytterligare evidens för detta läkemedel och att företaget är skyldigt att lämna dessa uppgifter. Läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Waylivra saknas för närvarande?

Eftersom Waylivra fått villkorat godkännande ska företaget som marknadsför Waylivra lämna in resultaten av en studie som bygger på ett patientregister och som undersöker hur blodkontrollerna och justeringarna av injektionsfrekvensen genomförs i praktiken samt hur väl de fungerar för att förebygga trombocytopeni och blödningar.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Waylivra?

Företaget som marknadsför Waylivra kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial för patienter och hälso- och sjukvårdspersonal med information om risken för trombocytopeni och blödningar och om vikten av att regelbundet kontrollera blodplättsnivåerna hos patienterna.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Waylivra har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Waylivra kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Waylivra utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Waylivra

Mer information om Waylivra finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra.