



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/18263/2025
EMA/H/C/006295

Wainzua (*eplontersen*)

Información general sobre Wainzua y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Wainzua y para qué se utiliza?

Wainzua es un medicamento que se utiliza para tratar una lesión de los nervios provocada por la amiloidosis hereditaria por transtirretina (ATTRv), una enfermedad en la que unas proteínas anómalas llamadas amiloides se acumulan en los tejidos de todo el organismo, incluyendo alrededor de los nervios.

Wainzua se utiliza en pacientes adultos en los dos primeros estadios de la lesión nerviosa (estadio 1, en el que el paciente es capaz de caminar sin ayuda, y estadio 2, en el que el paciente aún puede caminar, pero con ayuda).

Wainzua contiene el principio activo eplontersen.

¿Cómo se usa Wainzua?

Wainzua solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento lo debe iniciar y supervisar un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con amiloidosis. El tratamiento debe comenzar lo antes posible después de que los síntomas comiencen a aparecer, a fin de evitar una mayor progresión de la enfermedad.

El medicamento se administra una vez al mes mediante una inyección subcutánea en el abdomen (vientre), la parte superior del muslo o la parte superior del brazo, utilizando una pluma precargada. Los pacientes o sus cuidadores pueden inyectar Wainzua ellos mismos, pero la primera inyección debe realizarse bajo la dirección de un profesional sanitario. Los pacientes deben tomar suplementos de vitamina A durante el tratamiento con Wainzua.

En el caso de los pacientes cuya enfermedad pase al estadio 3 de la polineuropatía, el médico podrá continuar el tratamiento si los beneficios superan a los riesgos.

Si desea más información sobre el uso de Wainzua, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Wainzua?

En pacientes con amiloidosis ATTRv, una proteína denominada transtirretina (TTR), que circula por la sangre, es defectuosa y se rompe fácilmente. Al descomponerse, forma depósitos de amiloide en los tejidos y órganos de todo el cuerpo, así como alrededor de los nervios, e interfiere en su normal funcionamiento.

El principio activo de Wainzua, el eplontersen, es un «oligonucleótido antisentido», un material genético sintético corto que se ha diseñado para unirse al material genético de la célula responsable de producir la transtirretina y bloquearlo. Esto disminuye la producción de transtirretina, con lo que se reduce la formación de amiloides y se alivian los síntomas de la amiloidosis ATTRv.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Wainzua en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 144 pacientes con amiloidosis ATTRv con lesiones nerviosas de estadio 1 o 2, Wainzua demostró ser más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) para ralentizar el daño nervioso causado por la enfermedad.

Los principales criterios de valoración de la eficacia fueron la variación en los niveles sanguíneos de TTR de los pacientes y los cambios en la lesión nerviosa y la calidad de vida (medidos utilizando escalas normalizadas denominadas «mNIS+7» y «Norfolk QoL-DN», respectivamente) al cabo de 65 semanas de tratamiento. Los datos de este estudio se compararon con los del grupo placebo de otro estudio, realizado para Tegsedi (otro medicamento para la amiloidosis ATTR).

El estudio principal demostró que el nivel sanguíneo de TTR disminuyó un 80 % en los pacientes tratados con Wainzua y un 10 % en los pacientes a los que se administró placebo. La puntuación mNIS + 7, utilizada para evaluar la lesión nerviosa, empeoró en menor medida con Wainzua (alrededor de 3 puntos) que con el placebo (alrededor de 26 puntos). La calidad de vida, medida por la puntuación QoL-DN de Norfolk, mejoró en unos 6 puntos en los pacientes tratados con Wainzua, en comparación con un empeoramiento de alrededor de 14 puntos en los pacientes tratados con placebo.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Wainzua?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Wainzua se puede consultar en el prospecto.

El efecto adverso más frecuente de Wainzua (puede afectar a más de 9 de cada 10 pacientes) es la disminución de los niveles de vitamina A. Otro efecto adverso frecuente de Wainzua (puede afectar hasta a 1 de cada 10 personas) son los vómitos.

¿Por qué se ha autorizado Wainzua en la UE?

Se ha demostrado que Wainzua reduce significativamente los niveles sanguíneos de TTR, ralentiza los daños nerviosos y mejora la calidad de vida en pacientes con amiloidosis ATTRv con lesiones nerviosas de estadio 1 o estadio 2. Por lo que respecta a la seguridad, los efectos adversos son normalmente de intensidad leve a moderada y se consideran controlables.

Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Wainzua eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Wainzua?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Wainzua se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Wainzua se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Wainzua se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Wainzua

Puede encontrar más información sobre Wainzua en la página web de la Agencia:

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