



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/498744/2024
EMA/H/C/006295

Wainzua (*eplonterseen*)

Ülevaade ravimist Wainzua ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Wainzua ja milleks seda kasutatakse?

Wainzua on ravim, mida kasutatakse transtüretiiniga seotud pärilikust (ATTRv) amüloidoosist tingitud närvikahjustuse raviks. ATTRv-amüloidoos on haigus, mille korral ladestuvad kogu organismi kudedes, sealhulgas närvide ümber teatud ebanormaalsed valgud, amüloidid.

Wainzuat kasutatakse täiskasvanud patsientidel, kellel närvikahjustus on esimeses või teises staadiumis (1. staadium: patsient suudab abita kõndida; 2. staadium: patsient suudab kõndida, kuid vajab abi).

Wainzua sisaldab toimeainet eplonterseeni.

Kuidas Wainzuat kasutatakse?

Wainzua on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima amüloidoosiga patsientide ravis kogenud arst. Ravi tuleb alustada võimalikult vara pärast sümptomite ilmnemist, et vältida haiguse progresseerumist.

Ravimit manustatakse üks kord kuus pensüstliga nahaaluse süstena kõhupiirkonda, reie ülaossa või õlavarde. Patsiendid või nende hooldajad võivad Wainzuat ise süstida, kuid esimene süstimine peab toimuma tervishoiutöötaja juhendamisel. Wainzuaga toimuva ravi ajal peavad patsiendid võtma lisaks A-vitamiini.

Patsientidel, kellel haigus progresseerub 3. staadiumi polüneuropaatiaks, võib arst ravi jätkata, kui kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Lisateavet Wainzua kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Wainzua toimib?

ATTRv-amüloidoosiga patsientidel on veres ringlev valk transtüretiin (TTR) defektne ja laguneb kergesti. Lagunenud valgust tekivad amüloidiladestused kogu organismi kudedes ja organites, sealhulgas närvide ümber, kus see häirib närvide normaalset funktsiooni.

Wainzua toimeaine eplonterseen on antisenss-oligonukleotiid – väga lühike sünteesitud geenimaterjal, mis on välja töötatud seonduma transtüretiini tootmise eest vastutava raku geeniga ja seda

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



blokeerima. Nii väheneb transtüretiini tootmine, vähendades amüloidide moodustumist ja leevendades ATTRv-amüloidoosi sümptomeid.

Mis on uuringute põhjal Wainzua kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 144 ATTRv-amüloidoosi 1. või 2. staadiumi närvikahjustusega patsienti, tõendati, et Wainzua on haiguse põhjustatud närvikahjustuse progresseerumise aeglustamisel efektiivsem kui platseebo (näiv ravim).

Efektiivsuse põhinäitajad olid TTR-sisalduse muutus patsientide veres ja närvikahjustuse muutused ning elukvaliteet (mõõdetuna standardskaaladel mNIS+ 7 ja Norfolk QoL-DN) 65 ravinädala järel. Uuringu andmeid võrreldi platseeborühma andmetega teisest uuringust, mis tehti Tegsediga (samuti ATTR-amüloidoosi ravim).

Põhiuuring näitas, et TTR-sisaldus veres vähenes Wainzuaga ravitud patsientidel 80% ja platseebot saanud patsientidel 10%. Närvikahjustuste hindamiseks kasutatav mNIS+7 skoor halvenes Wainzuaga vähem (ligikaudu 3 punkti) kui platseeboga (ligikaudu 26 punkti). Elukvaliteet, mida mõõdetakse Norfolk QoL-DNi skooriga, paranes Wainzuaga ravitud patsientidel ligikaudu 6 punkti ja platseeborühmas ligikaudu 14 punkti.

Mis on Wainzua riskid?

Wainzua kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Wainzua kõige sagedam kõrvalnäht (võib esineda enam kui 9 patsiendil 10st) on A-vitamiini sisalduse vähenemine. Wainzua teine sage kõrvalnäht (võib esineda kuni 1 patsiendil 10st) on oksendamine.

Miks Wainzua ELis heaks kiideti?

Tõendati, et Wainzua vähendab oluliselt TTR-sisaldust veres, aeglustab närvikahjustuste progresseerumist ja parandab elukvaliteeti ATTRv-amüloidoosiga patsientidel, kellel on 1. või 2. staadiumi närvikahjustus. Ohutuse seisukohast on kõrvalnähud tavaliselt kerged kuni mõõdukad ja neid peetakse hallatavaks.

Seetõttu otsustas Euroopa Ravimiamet, et Wainzua kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Wainzua ohutu ja efektiivne kasutamine?

Wainzua ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Wainzua kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Wainzua oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Wainzua kohta

Lisateave Wainzua kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua