



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplonterseeni*)

Yleistiedot Wainzua-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Wainzua on ja mihin sitä käytetään?

Wainzua on lääke, jolla hoidetaan perinnöllisen transtyretiiniamyloidoosin (hATTR) aiheuttamia hermovaurioita. Kyseessä on sairaus, jossa kehon eri kudoksiin, myös hermojen ympärille, kertyy amyloideiksi kutsuttuja epänormaaleja proteiineja.

Wainzuaa käytetään aikuisilla hermovaurioiden kahden ensimmäisen vaiheen hoidossa (vaiheen 1 potilaat pystyvät kävelemään ilman apua, kun taas vaiheen 2 potilaat kykenevät vielä kävelemään mutta tarvitsevat apua liikkumisessa).

Wainzuan vaikuttava aine on eplonterseeni.

Miten Wainzuaa käytetään?

Wainzuaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta amyloidoosin hoitamisesta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa. Hoito on aloitettava mahdollisimman pian oireiden alkamisen jälkeen, jotta sairauden eteneminen voidaan välttää.

Lääkettä annetaan kerran kuukaudessa injektiona ihon alle vatsaan, reisiin tai olkavarteen esitäytetyllä kynällä. Potilaat tai heitä hoitavat henkilöt voivat injektoida Wainzua itse, mutta ensimmäinen injektio on annettava terveydenhuollon ammattilaisen ohjauksessa. Potilaiden on otettava A-vitamiinilisää Wainzua-hoidon aikana.

Lääkäri voi jatkaa hoitoa potilailla, joiden polyneuropatia on vaiheessa 3, jos hoidon hyödyt ovat suuremmat kuin riskit.

Lisätietoja Wainzuan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Wainzua vaikuttaa?

Perinnöllistä transtyretiiniamyloidoosia sairastavilla potilailla veren transtyretiini-proteiini on viallinen ja hajoaa helposti. Hajonnut proteiini muodostaa amyloidikertymiä kudoksiin ja elimiin eri puolille kehoa, myös hermojen ympärille, missä se häiritsee niiden normaalia toimintaa.

Wainzuan vaikuttava aine eplonterseeni on antisense-oligonukleotidi. Se on lyhyt pätkä keinotekoisesti valmistettua geneettistä materiaalia, jonka tarkoituksena on sitoutua transtyretiiniä tuottavan solun

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



geneettiseen materiaaliin ja estää sen toiminta. Tämä alentaa transtyretiinin tuotantoa ja vähentää siten amyloidikertymien muodostumista ja helpottaa transtyretiiniamyloidoosin oireita.

Mitä hyötyä Wainzuasta on havaittu tutkimuksissa?

Yhdessä päätutkimuksessa Wainzuan osoitettiin hidastavan sairauden aiheuttamien hermovaurioiden kehittymistä lumelääkettä tehokkaammin. Tutkimukseen osallistui 144 transtyretiiniamyloidoosia sairastavaa potilasta, joilla oli vaiheiden 1 tai 2 hermovaurioita.

Tehon pääasiallisena mittana olivat muutokset potilaan veren transtyretiinipitoisuudessa sekä hermovaurioissa ja elämänlaadussa mNIS+7- ja Norfolk QoL-DN -nimisiä vakioasteikkoja käyttäen 65 viikon hoidon jälkeen. Tämän tutkimuksen tietoja verrattiin lumelääkeryhmän tietoihin toisesta, Tegsedia (toinen transtyretiiniamyloidoosin hoitoon käytettävä lääke) koskevasta tutkimuksesta.

Päätutkimus osoitti, että veren transtyretiinipitoisuus pieneni Wainzua saaneilla potilailla 80 prosenttia ja lumelääkettä saaneilla potilailla 10 prosenttia. Wainzua saaneiden potilaiden hermovaurioiden arvioinnissa käytetyt mNIS+7-pisteet heikkenivät vähemmän (noin 3 pistettä) kuin lumelääkettä saaneiden potilaiden pisteet (noin 26 pistettä). Elämänlaatua mittaavat Norfolk QoL-DN -pisteet paranivat Wainzua saaneilla potilailla noin kuusi pistettä. Lumelääkettä saaneilla ne heikkenivät noin 14 pistettä.

Mitä riskejä Wainzuaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Wainzuan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Wainzuan yleisin haittavaikutus (jota saattaa aiheutua useammalle kuin yhdeksälle potilaalle kymmenestä) on A-vitamiinin pitoisuuden väheneminen. Toinen Wainzuan yleinen haittavaikutus (jota saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) on oksentelu.

Miksi Wainzua on hyväksytty EU:ssa?

Wainzuan osoitettiin vähentävän merkittävästi veren transtyretiinipitoisuutta, hidastavan hermovaurioita ja parantavan elämänlaatua transtyretiiniamyloidoosia sairastavilla potilailla, joilla oli vaiheen 1 tai vaiheen 2 hermovaurio. Turvallisuuden osalta haittavaikutukset ovat yleensä lieviä tai kohtalaisia, ja niiden katsotaan olevan hallittavissa.

Siksi Euroopan lääkevirasto katsoi, että Wainzuasta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Wainzuan turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Wainzuan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Wainzuan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Wainzuasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Wainzuasta

Lisätietoja Wainzuasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa

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