



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*éplontersen*)

Aperçu de Wainzua et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Wainzua et dans quel cas est-il utilisé?

Wainzua est un médicament utilisé dans le traitement des lésions des nerfs causées par l'amylose héréditaire à transthyrétine (amylose hATTR), une maladie au cours de laquelle des protéines anormales appelées «substances amyloïdes» s'accumulent dans les tissus de l'organisme, y compris autour des nerfs.

Wainzua est utilisé chez les adultes au cours des deux premières étapes de la lésion des nerfs (étape 1, lorsque le patient est capable de marcher sans assistance, et étape 2, lorsque le patient peut toujours marcher, mais a besoin d'une assistance).

Wainzua contient la substance active éplontersen.

Comment Wainzua est-il utilisé?

Wainzua n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans le traitement de patients atteints d'amylose. Le traitement doit commencer le plus tôt possible après l'apparition des symptômes, afin d'éviter toute progression supplémentaire de la maladie.

Le médicament est administré une fois par mois au moyen d'une injection sous la peau dans l'abdomen (ventre), la partie supérieure de la cuisse ou la partie supérieure du bras, à l'aide d'un stylo prérempli. Les patients ou leurs soignants peuvent injecter Wainzua eux-mêmes, mais la première injection doit être effectuée sous la direction d'un professionnel de santé. Les patients doivent être supplémentés en vitamine A pendant qu'ils sont traités par Wainzua.

Pour les patients dont la maladie évolue vers une polyneuropathie de stade 3, le médecin peut poursuivre le traitement si les bénéfices sont supérieurs aux risques.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Wainzua, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Wainzua agit-il?

Chez les patients atteints d'amylose hATTR, une protéine appelée «transthyrétine» (TTR), qui circule dans le sang, est défectueuse et se dégrade facilement. La protéine dégradée forme des dépôts

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



amyloïdes dans les tissus et les organes de tout le corps, y compris autour des nerfs, où ces dépôts interfèrent avec les fonctions normales de ces tissus et organes.

La substance active contenue dans Wainzua, l'éplontersen, est un «oligonucléotide antisens», un petit fragment de matériel génétique synthétique conçu pour se fixer au matériel génétique de la cellule responsable de la production de transthyrétine et d'en bloquer l'action. Cela permet de réduire la production de transthyrétine, réduisant ainsi la formation de substance amyloïde, ce qui atténue les symptômes de l'amylose hATTR.

Quels sont les bénéfices de Wainzua démontrés au cours des études?

Dans le cadre d'une étude principale portant sur 144 patients atteints d'amylose hATTR présentant des lésions nerveuses de stade 1 ou 2, Wainzua s'est montré plus efficace que le placebo (un traitement fictif) pour ralentir la formation des lésions nerveuses causées par la maladie.

Les principaux critères d'évaluation de l'efficacité étaient la variation des taux sanguins de TTR des patients, les modifications des lésions nerveuses et de la qualité de vie (mesurées à l'aide d'échelles standard appelées respectivement «mNIS+7» et «Norfolk QoL-DN») après 65 semaines de traitement. Les données de cette étude ont été comparées à celles du groupe placebo d'une autre étude, qui a été menée pour Tegsedi (un autre médicament utilisé dans le traitement de l'amylose hTTR).

L'étude principale a montré que le taux sanguin de TTR avait diminué de 80 % chez les patients traités par Wainzua et de 10 % chez les patients ayant reçu un placebo. Le score mNIS+7, utilisé pour évaluer les lésions nerveuses, a montré une détérioration moindre avec Wainzua (3 points environ) qu'avec un placebo (26 points environ). La qualité de vie, mesurée au moyen du score Norfolk QoL-DN, a montré une amélioration d'environ six points chez les patients sous Wainzua, mais une aggravation de 14 points environ chez les patients sous placebo.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Wainzua?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Wainzua, voir la notice.

L'effet indésirable le plus couramment observé sous Wainzua (qui peut toucher plus de 9 personnes sur 10) est la diminution des taux de vitamine A. Les vomissements sont un autre effet indésirable couramment observé sous Wainzua (qui peut toucher jusqu'à une personne sur 10).

Pourquoi Wainzua est-il autorisé dans l'UE?

Il a été démontré que Wainzua réduit significativement les taux sanguins de TTR, ralentit les lésions nerveuses et améliore la qualité de vie des patients atteints d'amylose hATTR présentant des lésions des nerfs de stade 1 ou 2. En ce qui concerne la sécurité, les effets indésirables sont généralement d'intensité légère à modérée et sont considérés comme gérables.

L'Agence européenne des médicaments a, par conséquent, estimé que les bénéfices de Wainzua sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Wainzua?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Wainzua ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Wainzua sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Wainzua sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Wainzua:

De plus amples informations sur Wainzua sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:

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