



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Pregled informacija o lijeku Wainzua i zašto je odobren u EU-u

Što je Wainzua i za što se koristi?

Wainzua se koristi za liječenje oštećenja živaca koja su uzrokovana nasljednom transtiretinskom amiloidozom (engl. *hereditary transthyretin-mediated amyloidosis*, ATTRv), bolešću pri kojoj se abnormalni proteini naziva amiloidi nakupljaju u tkivima tijela, među ostalim, oko živaca.

Wainzua se primjenjuje u odraslih bolesnika s prvim dvama stadijima oštećenja živaca (1. stadij, kada bolesnik može hodati bez pomoći i 2. stadij, kada bolesnik može hodati, ali mu je potrebna pomoć).

Wainzua sadrži djelatnu tvar eplontersen.

Kako se Wainzua primjenjuje?

Wainzua se izdaje samo na recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s amiloidozom. Liječenje treba započeti što je prije moguće nakon pojave simptoma kako bi se izbjeglo daljnje napredovanje bolesti.

Lijek se primjenjuje jednom mjesečno kao injekcija pod kožu trbuha (abdomena), gornjeg dijela bedra ili nadlaktice, s pomoću napunjene brizgalice. Bolesnici ili njihovi negovatelji mogu sami ubrizgavati lijek Wainzua, ali prvu injekciju treba dati uz smjernice zdravstvenog radnika. Tijekom terapije lijekom Wainzua bolesnici trebaju uzimati dodatke vitamina A.

U bolesnika čija bolest uznapreduje do 3. stadija polineuropatije, liječnik može nastaviti liječenje ako koristi nadmašuju rizike.

Za više informacija o primjeni lijeka Wainzua pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Wainzua?

U bolesnika s ATTRv amiloidozom protein naziva transtiretin (TTR), koji cirkulira u krvi, oštećen je i lako se lomi. Raspadnuti protein stvara nakupine amiloida u tkivu i organima u tijelu, uključujući oko živaca, i ometa njihove normalne funkcije.

Djelatna tvar u lijeku Wainzua, eplontersen, protusmjerni je oligonukleotid, vrlo kratak sintetički genski materijal koji je namijenjen za vezivanje na genski materijal stanica odgovornih za stvaranje

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



transtiretina, i njegovo blokiranje. To dovodi do smanjenog stvaranja transtiretina, čime se smanjuje nastajanje amiloida i ublažavaju simptomi ATTRv amiloidoze.

Koje su koristi od lijeka Wainzua utvrđene u ispitivanjima?

U jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 144 bolesnika s ATTRv amiloidozom koji su imali oštećenje živaca u 1. ili 2. stadiju, lijek Wainzua pokazao se učinkovitijim od placeba (prividnog liječenja) u usporavanju oštećenja živaca uzrokovanog tom bolešću.

Glavna mjerila učinkovitosti bile su promjena razine TTR-a u krvi bolesnika i promjene oštećenja živaca i kvalitete života (mjerene standardnim ljestvicama naziva „mNIS+ 7” odnosno „Norfolk QoL-DN”) nakon 65 tjedana liječenja. Podatci iz tog ispitivanja uspoređeni su s podacima za skupinu koja je primala placebo iz drugog ispitivanja, koje je provedeno za lijek Tegsedil (drugi lijek za liječenje ATTR amiloidoze).

Glavno ispitivanje pokazalo je da se razina TTR-a u krvi smanjila za 80 % u bolesnika koji su primali lijek Wainzua i za 10 % u bolesnika koji su primali placebo. Rezultat ljestvice mNIS+ 7, koja se upotrebljava za ocjenu oštećenja živaca, pogoršao se u manjoj mjeri s lijekom Wainzua (za oko 3 boda) nego s placebom (za oko 26 bodova). Kvaliteta života, izmjerena rezultatom ljestvice Norfolk QoL-DN, poboljšala se za oko 6 bodova u bolesnika koji su primali lijek Wainzua, u usporedbi s pogoršanjem od oko 14 bodova u bolesnika koji su primali placebo.

Koji su rizici povezani s lijekom Wainzua?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Wainzua potražite u uputi o lijeku.

Najčešća je nuspojava lijeka Wainzua (koja se može javiti u više od 9 na 10 osoba) smanjenje razine vitamina A. Druga uobičajena nuspojava lijeka Wainzua (koja se može javiti u manje od 1 na 10 osoba) jest povraćanje.

Zašto je lijek Wainzua odobren u EU-u?

Pokazalo se da lijek Wainzua značajno smanjuje razinu TTR-a u krvi, usporava oštećenje živaca i poboljšava kvalitetu života u bolesnika s ATTRv amiloidozom s oštećenjem živaca u 1. ili 2. stadiju. Kad je riječ o sigurnosti primjene, nuspojave su obično blagog do umjerenog intenziteta i smatra se da ih je moguće kontrolirati.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Wainzua nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Wainzua?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Wainzua nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Wainzua kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Wainzua pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Wainzua

Više informacija o lijeku Wainzua dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua