



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

A Wainzua-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Wainzua és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Wainzua az örökletes transztiretin-mediált (ATTRv) amiloidózis által okozott idegkárosodás kezelésére alkalmazott gyógyszer. Ezen betegség esetén amiloidoknak nevezett rendellenes fehérjék halmozódnak fel a szervezet különféle szöveteiben, így az idegek körül is.

A Wainzua-t felnőttél, az idegkárosodás első két stádiumában alkalmazzák (az 1. stádiumban a beteg képes segítség nélkül járni, a 2. stádiumban a beteg még tud járni, de ehhez segítségre van szüksége).

A Wainzua hatóanyaga az eplontersen.

Hogyan kell alkalmazni a Wainzua-t?

A Wainzua csak receptre kapható, és a kezelést az amiloidózisban szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie. A kezelést a tünetek megjelenését követően a lehető leghamarabb meg kell kezdeni, hogy el lehessen kerülni a betegség további súlyosbodását.

A gyógyszert havonta egyszer, a hasfal, a comb felső része vagy a felkar bőre alá, előretöltött injekciós toll segítségével kell injekció formájában beadni. A betegek vagy gondozók maguk is beadhatják a Wainzua-t, de az első injekciót egészségügyi szakember felügyelete mellett kell beadni. A Wainzua-kezelés alatt a betegeknél A-vitamin-pótlás szükséges.

Azoknál a betegeknél, akiknek a betegsége 3. stádiumú polineuropátiává súlyosbodik, a kezelőorvos akkor folytathatja a kezelést, ha annak előnyei meghaladják a kockázatokat.

A Wainzua alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását a Wainzua?

Az ATTRv amiloidózisban szenvedő betegeknél a vérben keringő transztiretin nevű fehérje hibás és könnyen törik. A törött fehérje a szervezetben amiloid-lerakódásokat képez a szövetekben és a szervekben, többek között az idegek körül is, és akadályozza azok normál működését.

A Wainzua hatóanyaga, az eplonterszen, egy „antiszensz oligonukleotid”, azaz egy rövid szintetikus genetikai anyag, amelyet arra terveztek, hogy a transztiretin termeléséért felelős sejt genetikai anyagához kötődjön és azt blokkolja. Ez csökkenti a transztiretin termelését, ezáltal csökkenti az amiloidok képződését és enyhíti az ATTRv amiloidózis tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Wainzua alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 144, 1. vagy 2. stádiumú idegkárosodással járó ATTRv amiloidózisban szenvedő betegre kiterjedő fő vizsgálatban kimutatták, hogy a Wainzua a betegség okozta idegkárosodás lassításában hatékonyabb a placebónál (hatóanyag nélküli kezelés).

A hatásosság fő mutatója 65 hetes kezelést követően a TTR vérszintjének változása, valamint az idegkárosodás és az életminőség változása volt (amit az „mNIS+7”, illetve a „Norfolk QoL-DN” elnevezésű standard skálák segítségével mértek). Az ebből a vizsgálatból származó adatokat egy másik, a Tegsedi-vel (az ATTR amiloidózis kezelésére alkalmazott másik gyógyszer) végzett vizsgálatból származó, a placebocsoportra vonatkozó adatokkal hasonlították össze.

A fő vizsgálatban a TTR vérszintje a Wainzua-val kezelt betegeknél 80%-kal, a placebót kapott betegeknél pedig 10%-kal csökkent. Az idegkárosodás felmérésére szolgáló mNIS+7 pontszám kisebb mértékben rosszabbodott a Wainzua alkalmazása esetén (kb. 3 ponttal), mint a placebo alkalmazásával (kb. 26 ponttal). A Norfolk QoL-DN pontszámával mért életminőség a Wainzua-val kezelt betegek esetében körülbelül 6 ponttal javult, míg a placebóval kezeltéknél körülbelül 14 ponttal romlott.

Milyen kockázatokkal jár a Wainzua alkalmazása?

A Wainzua alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Wainzua leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 9-nél jelentkezhet) az A-vitamin csökkent szintje. A Wainzua másik gyakori mellékhatása (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a hányás.

Miért engedélyezték a Wainzua forgalomba hozatalát az EU-ban?

A vizsgálatban kimutatták, hogy a Wainzua jelentősen csökkenti a TTR vérszintjét, lelassítja az idegkárosodást, és javítja az életminőséget az 1. vagy 2. stádiumú idegkárosodással járó ATTRv amiloidózisban szenvedő betegeknél. A biztonságosságot illetően a mellékhatások általában enyhe vagy mérsékelt intenzitásúak, és kezelhetőnek tekinthetők.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Wainzua alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Wainzua biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Wainzua biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Wainzua alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Wainzua alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Wainzua-val kapcsolatos egyéb információ

A Wainzua-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua