



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Sintesi di Wainzua e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Wainzua e per cosa si usa?

Wainzua è un medicinale usato per il trattamento della neuropatia causata dall'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (ATTRv), una malattia in cui proteine anomale denominate amiloidi si accumulano nei tessuti dell'organismo, compresi i nervi.

Wainzua è utilizzato negli adulti nei primi due stadi della neuropatia (stadio 1, in cui il paziente non necessita di assistenza per la deambulazione, e stadio 2, in cui il paziente può ancora deambulare ma necessita di assistenza).

Wainzua contiene il principio attivo eplontersen.

Come si usa Wainzua?

Wainzua può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere avviato e supervisionato da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti da amiloidosi. Il trattamento deve iniziare il prima possibile dopo l'inizio dei sintomi per evitare un'ulteriore progressione della malattia.

Il medicinale viene somministrato una volta al mese come iniezione sottocutanea nell'addome (pancia), nella parte superiore della coscia o nella parte superiore del braccio, mediante una penna preriempita. I pazienti o le persone che li assistono possono praticare essi stessi l'iniezione di Wainzua, ma la prima iniezione deve essere effettuata sotto la guida di un operatore sanitario. Durante il trattamento con Wainzua i pazienti devono assumere integratori di vitamina A.

Nei pazienti la cui malattia progredisce fino allo stadio 3 della polineuropatia, il medico può proseguire il trattamento se i benefici sono superiori ai rischi.

Per maggiori informazioni sull'uso di Wainzua, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Wainzua?

Nei pazienti affetti da amiloidosi ATTRv, una proteina denominata transtiretina (TTR), che circola nel sangue, è difettosa e si scompone facilmente. Una volta scompostasi, tale proteina forma depositi di

Official address Domenico Scarlatilaan 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



amiloide, che si accumulano nei tessuti e negli organi in tutto l'organismo, compresi i nervi, interferendo con le loro normali funzioni.

Il principio attivo presente in Wainzua, eplontersen, è un "oligonucleotide antisense", un frammento di materiale genetico sintetico molto breve progettato per legarsi al materiale genetico della cellula responsabile della produzione di transtiretina e bloccarlo. Ciò riduce la produzione di transtiretina, diminuendo pertanto la formazione di amiloidi e alleviando i sintomi dell'amiloidosi ATTRv.

Quali benefici di Wainzua sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio principale condotto su 144 pazienti affetti da amiloidosi ATTRv con neuropatia allo stadio 1 o 2, Wainzua è risultato più efficace del placebo (un trattamento fittizio) nel rallentare la neuropatia causata dalla malattia.

Le principali misure di efficacia sono state la variazione dei livelli di TTR nel sangue dei pazienti e i cambiamenti nella neuropatia e nella qualità della vita (misurati utilizzando scale standard denominate rispettivamente "mNIS+7" e "Norfolk QoL-DN") dopo 65 settimane di trattamento. I dati di questo studio sono stati confrontati con quelli relativi al gruppo placebo di un altro studio condotto per Tegsedi (un altro medicinale per l'amiloidosi ATTR).

Lo studio principale ha mostrato che il livello di TTR nel sangue è diminuito dell'80 % nei pazienti trattati con Wainzua e del 10 % nei pazienti ai quali era stato somministrato placebo. Il punteggio mNIS+7, utilizzato per valutare la neuropatia, è peggiorato in misura minore con Wainzua (circa 3 punti) rispetto al placebo (circa 26 punti). La qualità della vita, misurata dal punteggio Norfolk QoL-DN, è migliorata di circa 6 punti nei pazienti trattati con Wainzua rispetto a un peggioramento di circa 14 punti nei pazienti trattati con placebo.

Quali sono i rischi associati a Wainzua?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Wainzua, vedere il foglio illustrativo.

L'effetto indesiderato più comune di Wainzua (che può riguardare più di 9 persone su 10) è la diminuzione dei livelli di vitamina A. Un altro effetto indesiderato comune di Wainzua (che può riguardare fino a 1 persona su 10) è il vomito.

Perché Wainzua è autorizzato nell'UE?

È stato dimostrato che Wainzua riduce in modo significativo i livelli di TTR nel sangue, rallenta la neuropatia e migliora la qualità della vita nei pazienti affetti da amiloidosi ATTRv con neuropatia allo stadio 1 o allo stadio 2. Per quanto riguarda la sicurezza, gli effetti indesiderati sono generalmente di intensità da lieve a moderata e sono considerati gestibili.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Wainzua sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Wainzua?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Wainzua sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Wainzua sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Wainzua sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Wainzua

Ulteriori informazioni su Wainzua sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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