



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersenas*)

Wainzua apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Wainzua ir kam jis vartojamas?

Wainzua – tai vaistas, kuriuo gydoma nervų pažeida, kurią sukelia paveldėtoji transtiretino amiloidozė (PTA, angl. *variant transthyretin amyloidosis*, ATTRv); sergant šia liga įvairiuose kūno audiniuose, įskaitant apie nervus esančius audinius, kaupiasi nenormalūs (pakitę) baltymai, vadinami amiloidais.

Wainzua skiriamas suaugusiesiems esant pirmų dviejų stadijų nervų pažeidai (1 stadija – pacientas gali vaikščioti be pagalbinių priemonių; 2 stadija – pacientas vis dar gali paeiti, bet jam reikia pagalbos).

Wainzua sudėtyje yra veikliosios medžiagos eplonterseno.

Kaip vartoti Wainzua?

Wainzua galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis amiloidozę sergančių pacientų gydymo patirties. Pasireiškus ligos simptomams, gydymą reikia pradėti kuo greičiau, kad liga nebeprogresuotų.

Vaistas kartą per mėnesį leidžiamas į poodį juosmens (pilvo), šlaunies ar žasto srityje, naudojant užpildytą švirkštilį. Pacientai arba juos slaugantys asmenys gali patys leisti Wainzua, tačiau pirmą injekciją turi būti atlikta padedant sveikatos priežiūros specialistui. Gydymo Wainzua laikotarpiu pacientai turi vartoti vitamino A papildus.

Ligai progresavus iki 3 stadijos polineuropatijos, gydytojas gali tęsti gydymą šiuo vaistu, jeigu jo nauda yra didesnė už jo keliamą riziką.

Daugiau informacijos apie Wainzua vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Wainzua?

Paveldėtą transtiretino amiloidozę sergančių pacientų kraujotakoje esantis baltymas transtiretinas yra pakitęs ir lengvai skyla. Suskilus šiam baltymui, įvairiuose audiniuose ir organuose, įskaitant apie nervus esančius audinius, kaupiasi amiloidai, kurie sutrikdo normalią jų funkciją.

Veiklioji Wainzua medžiaga eplontersenas yra vadinamasis priešprasminis oligonukleotidas – labai trumpa sintetinės genetinės medžiagos gija, kuri sumodeliuota taip, kad jungtųsi prie ląstelės, kuri yra

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



atsakinga už transtiretino gamybą, genetinės medžiagos ir ją slopintų. Dėl tokio poveikio žmogaus organizme pagaminama mažiau transtiretino, todėl susidaro mažiau amiloidų ir palengvėja PTA sukeliama simptomai.

Kokia Wainzua nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 144 PTA sergantys pacientai, kuriems buvo diagnozuota 1 arba 2 stadijos nervų pažaida, nustatyta, kad Wainzua yra veiksmingesnis už placebo (netikrą vaistą) siekiant pristabdyti šios ligos sukeltos nervų pažaidos progresavimą.

Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo transtiretino koncentracijos pacientų kraujyje pokytis ir nervų pažaidos bei gyvenimo kokybės pokyčiai (vertinant pagal standartines atitinkamai polineuropatijos simptomų ir gyvenimo kokybės vertinimo skales „mNIS+ 7“ ir „Norfolk QoL-DN“) po 65 gydymo savaičių. Šio tyrimo duomenys buvo lyginami su placebo grupės duomenimis, surinktais atliekant kitą tyrimą, kurio metu buvo tiriamas Tegsedi (kitas vaistas nuo PTA).

Atlikus pagrindinį tyrimą nustatyta, kad transtiretino koncentracija Wainzua gydomų pacientų kraujyje sumažėjo 80 proc., o placebo vartojusių pacientų – 10 proc. Vartojant Wainzua, nervų pažaidos vertinimas pagal skalę „mNIS+7“ pablogėjo mažiau (maždaug 3 balais) nei vartojant placebo (maždaug 26 balais) Vartojant Wainzua, gyvenimo kokybės vertinimas pagal skalę „Norfolk QoL-DN“ pagerėjo maždaug 6 balais, o vartojant placebo – pablogėjo maždaug 14 balų.

Kokia rizika siejama su Wainzua vartojimu?

Išsamų visų Wainzua šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Wainzua šalutinis reiškinys (galintis pasireikšti daugiau kaip 9 žmonėms iš 10) yra sumažėjęs vitamino A kiekis. Kitas dažnas Wainzua šalutinis poveikis (galintis pasireikšti rečiau kaip 1 žmogui iš 10) yra vėmimas.

Kodėl Wainzua buvo registruotas ES?

Nustatyta, kad vartojant Wainzua reikšmingai sumažėja transtiretino koncentracija PTA sergančių pacientų, kuriems diagnozuota 1 arba 2 stadijos nervų pažaida, kraujyje, pristabdoma jų nervų pažaida ir pagerėja jų gyvenimo kokybė. Kalbant apie Wainzua saugumą, paprastai šio vaisto sukeltas šalutinis poveikis yra lengvas arba vidutinio intensyvumo ir jį galima kontroliuoti.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Wainzua nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Wainzua vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Wainzua vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Wainzua vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Wainzua šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Wainzua

Daugiau informacijos apie Wainzua rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua.