



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersens*)

Wainzua pārskats un kāpēc tā ir reģistrēta ES

Kas ir Wainzua un kāpēc tās lieto?

Wainzua ir zāles, ko lieto, lai ārstētu nervu bojājumus, ko izraisa pārmantota transtiretīna (ATTRv) amiloidoze – slimība, kuras gadījumā par amiloīdiem dēvētas olbaltumvielas uzkrājas organisma audos, tostarp ap nerviem.

Wainzua lieto pieaugušajiem nervu bojājumu pirmajās divās stadijās (1. stadija, kad pacients spēj patstāvīgi staigāt, un 2. stadija, kad pacients vēl var staigāt, bet viņam vajadzīga palīdzība).

Wainzua satur aktīvo vielu eplontersenu.

Kā lieto Wainzua?

Wainzua var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi amiloidozes pacientu ārstēšanā. Ārstēšana jāuzsāk pēc iespējas agrāk pēc simptomu parādīšanās, lai izvairītos no slimības turpmākas progresēšanas.

Zāles ievada vienreiz mēnesī zemādas injekcijas veidā vēderā, augšstilbā vai augšdelmā, izmantojot pilnšļirci. Pacienti vai viņu aprūpētāji var paši injicēt Wainzua, bet pirmā injekcija jāveic veselības aprūpes speciālista uzraudzībā. Ārstēšanas ar Wainzua laikā pacientiem jālieto A vitamīna piedevas.

Pacientiem, kuriem slimība progresē līdz 3. posma polineiopātijai, ārsts var turpināt ārstēšanu, ja ieguvumi pārsniedz riskus.

Papildu informāciju par Wainzua lietošanu skatīt lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā Wainzua darbojas?

Pacientiem ar ATTRv amiloidozi ir olbaltumviela, ko dēvē par transtiretīnu (TTR), kas cirkulē asinīs, ir bojāta un viegli šķeļas. Noārdītās olbaltumvielas veido amiloīdu nogulsnes ķermeņa audos un orgānos, tostarp ap nerviem, kur tās traucē normālai to darbībai.

Wainzua aktīvā viela eplontersens ir "antisensa oligonukleotīds", kas ir īss sintētiskā ģenētiskā materiāla fragments, kurš paredzēts, lai piesaistītos par transtiretīna ražošanu atbildīgās šūnas

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



ģenētiskajam materiālam un bloķētu to. Tas mazina transtiretīna veidošanos, tādējādi mazinot amiloīdu veidošanos un mazinot ATTRv amiloidozes simptomus.

Kādi *Wainzua* ieguvumi atklāti pētījumos?

Vienā pamatpētījumā, iesaistot 144 pacientus ar ATTRv amiloidozi ar 1. vai 2. stadijas nervu bojājumiem, tika pierādīts, ka *Wainzua* efektīvāk nekā placebo (fiktīva ārstēšana) palēnina slimības izraisītos nervu bojājumus.

Galvenie efektivitātes rādītāji bija TTR līmeņa izmaiņas pacientu asinīs un nervu bojājumu un dzīves kvalitātes izmaiņas (ko mērija, izmantojot standarta shēmas, ko dēvē attiecīgi par *mNIS+7* un *Norfolk QoL-DN*) pēc 65 ārstēšanas nedēļām. Šā pētījuma dati tika salīdzināti ar placebo grupas datiem no cita pētījuma, kas tika veikts ar *Tegsedi* (citām ATTR amiloidozes zālēm).

Pamatpētījumā pierādīja, ka TTR līmenis asinīs samazinājās par 80 % pacientiem, kurus ārstēja ar *Wainzua*, un par 10 % pacientiem, kuri saņēma placebo. *mNIS+7* rādītājs, ko izmanto nervu bojājumu novērtēšanai, ar *Wainzua* (apmēram 3 punkti) pasliktinājās mazākā mērā nekā ar placebo (apmēram 26 punkti). Dzīves kvalitāte, ko mēra ar *Norfolk QoL-DN* vērtējumu, uzlabojās par aptuveni sešiem punktiem pacientiem, kurus ārstēja ar *Wainzua*, salīdzinot ar aptuveni 14 punktu pasliktināšanos pacientiem, kuri saņēma placebo.

Kāds risks pastāv, lietojot *Wainzua*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Wainzua*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākā *Wainzua* blakusparādība (kas var rasties vairāk nekā 9 no 10 cilvēkiem) ir pazemināts A vitamīna līmenis. Cita bieži sastopama *Wainzua* blakusparādība (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir vemšana.

Kāpēc *Wainzua* ir reģistrētas ES?

Tika pierādīts, ka *Wainzua* ievērojami samazina TTR līmeni asinīs, palēnina nervu bojājumus un uzlabo dzīves kvalitāti pacientiem ar ATTRv amiloidozi ar 1. stadijas vai 2. stadijas nervu bojājumiem. Attiecībā uz drošumu blakusparādības parasti ir vieglas līdz vidēji smagas un tiek uzskatītas par kontrolējamām.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Wainzua*, pārsniedz šīs vakcīnas radīto risku, un vakcīnu var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Wainzua* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Wainzua* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Wainzua* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Wainzua* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Wainzua*

Sīkāka informācija par *Wainzua* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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