



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Ħarsa ġenerali lejn Wainzua u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Wainzua u għal xiex jintuża?

Wainzua huwa mediċina li tintuża għat-trattament tal-ħsara fin-nervituri kkawżata minn amilojdoži transtiretin ereditarja (ATTR), marda li fiha l-proteini anormali msejġha amilojdi jingemgħu fit-tessuti ta' madwar il-ġisem inkluż madwar in-nervituri.

Wainzua jintuża f'pazjenti adulti fl-ewwel żewġ stadji tal-ħsara fin-nervituri (stadju 1, meta l-pazjent ikun jista' jimxi mingħajr għajnuna, u stadju 2, meta l-pazjent ikun għadu jista' jimxi iżda jeħtieġ l-għajnuna).

Wainzua fih is-sustanza attiva eplontersen.

Kif jintuża Wainzua?

Wainzua jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jinbeda u jiġi ssorveljat minn tabib b'esperjenza fit-trattament ta' pazjenti b'amilojdoži. It-trattament għandu jinbeda kmieni kemm jista' jkun wara li jibdw is-sintomi biex tiġi evitata aktar progressjoni tal-marda.

Il-mediċina tingħata darba fix-xahar bħala injezzjoni taħt il-ġilda fl-addome (żaqq), fil-koxxa ta' fuq jew fil-parti ta' fuq tad-driegħ, bl-użu ta' pinna mimlija lesta. Il-pazjenti jew dawk li jieħdu ħsiebhom jistgħu jinjettaw Wainzua huma stess, iżda l-ewwel injezzjoni għandha ssir taħt il-gwida ta' professjonist fil-kura tas-saħħa. Il-pazjenti għandhom jieħdu supplimenti tal-vitamina A matul it-trattament b'Wainzua.

Għal pazjenti li l-marda tagħhom tipprogressa għal polinewropatija ta' stadju 3, it-tabib jista' jkompli t-trattament jekk il-benefiċċji jkunu akbar mir-riskji.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Wainzua, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispjżjar tiegħek.

Kif jaħdem Wainzua?

F'pazjenti b'amilojdoži ATTRv, proteina msejġha transtiretin (TTR), li tiċċirkola fid-demm, hija difettuża u tinkiser faċilment. Il-proteina mkissra tiffurma depożiti amilojdi f'tessuti u f'organi madwar il-ġisem, inkluż madwar in-nervituri, fejn tinterferixxi mal-funzjonijiet normali tagħhom.

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



Is-sustanza attiva f'Wainzua, l-eplontersen, hija "oligonukleotid antisens", biċċa qasira ħafna ta' materjal ġenetiku sintetiku li giet iddisinjata biex tehel mal-materjal ġenetiku taċ-ċellula responsabbli mill-produzzjoni ta' transtiretin u timblokkah. Dan inaqqas il-produzzjoni ta' transtiretin, u b'hekk inaqqas il-formazzjoni ta' amilojdoži u jtaffi s-sintomi ta' amilojdoži ATTRv.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Wainzua li ħarġu mill-istudji?

Fi studju ewlieni wieħed li involva 144 pazjent b'amilojdoži ATTRv bi ħsara fin-nervituri fi stadju 1 jew 2, Wainzua ntwerha li huwa aktar effettiv mill-placebo (trattament fint) biex inaqqas ir-ritmu tal-ħsara fin-nervituri kkawżata mill-marda.

Il-kejl ewlieni tal-effettività kien il-bidla fil-livelli tat-TTR fid-demm tal-pazjenti u l-bidliet fil-ħsara fin-nervituri u fil-kwalità tal-ħajja (imkejla bl-użu ta' skali standard imsejha "mNIS+7" u "Norfolk QoL-DN", rispettivament) wara 65 ġimgħa ta' trattament. Id-*data* minn dan l-istudju tqabblat ma' dik għall-grupp tal-placebo minn studju ieħor, li twettaq għal Tegsedi (medicina oħra ta' amilojdoži ATTR).

L-istudju ewlieni wera li l-livell ta' TTR fid-demm naqas bi 80 % f'pazjenti li ngħataw trattament b'Wainzua u b'10 % f'pazjenti li ngħataw placebo. Il-punteġġ mNIS+7, użat għall-valutazzjoni tal-ħsara fin-nervituri, mar għall-agħar b'livell aktar baxx b'Wainzua (madwar 3 punti) milli bil-placebo (madwar 26 punt). Il-kwalità tal-ħajja, imkejla bil-punteġġ ta' Norfolk QoL-DN, tgiebet b'madwar 6 punti f'pazjenti li ngħataw trattament b'Wainzua, meta mqabbla ma' aggravar ta' madwar 14-il punt f'dawk fuq il-placebo.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Wainzua?

Għal-lista shiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Wainzua, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Wainzua (li jista' jaffettwa aktar minn 9 persuni minn kull 10) huwa tnaqqis fil-livelli tal-vitamina A. Effett sekondarju komuni ieħor b'Wainzua (li jista' jaffettwa sa persuna 1 minn kull 10) huwa rimettar.

Għaliex Wainzua ġie awtorizzat fl-UE?

Wainzua ntwerha li jnaqqas b'mod sinifikanti l-livelli tat-TTR fid-demm, biex inaqqas il-ħsara fin-nervituri u biex itejjeb il-kwalità tal-ħajja f'pazjenti b'amilojdoži ATTRv bi ħsara fin-nervituri fi stadju 1 jew fi stadju 2. Fir-rigward tas-sigurtà, l-effetti sekondarji huma normalment ħfief għal moderati fl-intensità u huma kkunsidrati maniġġabbli.

Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Wainzua huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittiehdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Wainzua?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Wainzua.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Wainzua hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Wainzua huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Wainzua

Aktar informazzjoni dwar Wainzua tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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