



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Een overzicht van Wainzua en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Wainzua en wanneer wordt het voorgeschreven?

Wainzua is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van zenuwbeschadiging veroorzaakt door erfelijke transthyretineamyloïdose (ATTRv), een ziekte waarbij afwijkende eiwitten genaamd amyloïden zich in het hele lichaam in weefsels ophopen, ook rond de zenuwen.

Wainzua wordt gebruikt bij volwassen patiënten tijdens de eerste twee stadia van de zenuwbeschadiging (in stadium 1 is de patiënt in staat zonder hulpmiddelen te lopen; in stadium 2 kan de patiënt nog wel lopen maar moet daarbij worden geholpen).

Wainzua bevat de werkzame stof eplontersen.

Hoe wordt Wainzua gebruikt?

Wainzua is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met amyloïdose. De behandeling moet zo vroeg mogelijk na aanvang van de symptomen worden gestart om verdere progressie van de ziekte te voorkomen.

Het geneesmiddel wordt eenmaal per maand toegediend door middel van een injectie onder de huid in de buik, bovendij of bovenarm, met behulp van een voorgevulde pen. Patiënten of hun verzorgers kunnen Wainzua zelf injecteren, maar de eerste injectie dient te worden gedaan onder begeleiding van een professionele zorgverlener. Patiënten moeten tijdens de behandeling met Wainzua vitamine A-supplementen innemen.

Ingeval de ziekte zich ontwikkelt tot polyneuropathie stadium 3, kan de behandelend arts besluiten de behandeling voort te zetten als de voordelen opwegen tegen de risico's.

Zie de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Wainzua.

Hoe werkt Wainzua?

Bij patiënten met ATTRv-amyloïdose is het eiwit transthyretine (TTR), dat in het bloed circuleert, defect en breekt dit eiwit gemakkelijk. Het beschadigde eiwit vormt amyloïdafzettingen in weefsels en

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



organen in het hele lichaam, ook rond de zenuwen, waardoor de normale functies ervan worden verstoord.

De werkzame stof in Wainzua, eplontersen, is een 'antisense-oligonucleotide', een kort stukje synthetisch genetisch materiaal dat zodanig is ontwikkeld dat het zich hecht aan het genetische materiaal van de cel die verantwoordelijk is voor de aanmaak van transthyretine, en dit blokkeert. Hierdoor vermindert de aanmaak van transthyretine en neemt de vorming van amyloïden af, waardoor de symptomen van ATTRv-amyloïdose worden verlicht.

Welke voordelen bleek Wainzua tijdens de studies te hebben?

In één hoofdstudie onder 144 patiënten met ATTRv-amyloïdose met zenuwbeschadiging in stadium 1 of 2 bleek Wainzua werkzamer dan placebo (een schijnbehandeling) bij het vertragen van de zenuwbeschadiging veroorzaakt door de ziekte.

De voornaamste graadmeters voor de werkzaamheid waren de verandering in de TTR-bloedspiegel van de patiënten en veranderingen in de zenuwbeschadiging en de levenskwaliteit van de patiënten (gemeten met behulp van standaardschalen genaamd 'mNIS+7' respectievelijk 'Norfolk QoL-DN') na 65 weken behandeling. De gegevens van deze studie werden vergeleken met die voor de placebogroep uit een andere studie, die werd uitgevoerd voor Tegsedi (een ander geneesmiddel voor ATTR-amyloïdose).

Uit de hoofdstudie bleek dat de bloedspiegel van TTR met 80 % daalde bij patiënten die met Wainzua werden behandeld en met 10 % bij patiënten die placebo kregen. De mNIS+7-score, gebruikt voor de beoordeling van zenuwbeschadiging, verslechterde in mindere mate bij Wainzua (ongeveer 3 punten) dan bij placebo (ongeveer 26 punten). De kwaliteit van leven, gemeten aan de hand van de Norfolk QoL-DN-score, verbeterde met ongeveer 6 punten bij patiënten die met Wainzua werden behandeld, vergeleken met een verslechtering van ongeveer 14 punten bij patiënten die placebo kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Wainzua in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Wainzua.

De meest voorkomende bijwerking van Wainzua (die bij meer dan 9 op de 10 personen kan optreden) is een verlaagde vitamine A-spiegel. Een andere vaak voorkomende bijwerking van Wainzua (die bij maximaal 1 op de 10 personen kan optreden) is braken.

Waarom is Wainzua geregistreerd in de EU?

Wainzua bleek de bloedspiegel van TTR aanzienlijk te verlagen, de zenuwbeschadiging te vertragen en de levenskwaliteit te verbeteren bij patiënten met ATTRv-amyloïdose met zenuwbeschadiging in stadium 1 of stadium 2. Wat de veiligheid betreft, zijn de bijwerkingen doorgaans licht tot matig van aard en worden ze als beheersbaar beschouwd.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Wainzua groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Wainzua te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Wainzua zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Wainzua continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Wainzua worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Wainzua

Meer informatie over Wainzua is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua