



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Przegląd wiedzy na temat leku Wainzua i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Wainzua i w jakim celu się go stosuje

Lek Wainzua jest stosowany w leczeniu uszkodzenia nerwów wywołanego dziedziczną amyloidozą transtyretynową (ang. *hereditary transthyretin-mediated amyloidosis*, ATTRv), chorobą, w przebiegu której nieprawidłowe białko (nazywane amyloidozą) gromadzi się w tkankach organizmu, w tym wokół nerwów.

Lek Wainzua stosuje się u pacjentów dorosłych w dwóch pierwszych stadiach uszkodzenia nerwów (1. stadium zaawansowania, w którym pacjent może się samodzielnie poruszać bez asysty, oraz 2. stadium zaawansowania, w którym pacjent wciąż potrafi się samodzielnie poruszać, ale potrzebuje w tym pomocy).

Substancją czynną zawartą w leku Wainzua jest eplontersen.

Jak stosować lek Wainzua

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w diagnostyce i leczeniu pacjentów cierpiących na amyloidozę. Leczenie powinno rozpocząć się jak najwcześniej po wystąpieniu objawów, aby uniknąć dalszego rozwoju choroby.

Lek podaje się raz na miesiąc w postaci wstrzyknięcia podskórnego wykonywanego w brzuch, górną część uda lub ramię przy użyciu wstrzykiwacza półautomatycznego napełnionego. Pacjenci lub ich opiekunowie mogą samodzielnie podawać lek Wainzua, ale pierwsze wstrzyknięcie należy wykonać pod nadzorem personelu medycznego. Podczas terapii lekiem Wainzua pacjenci powinni stosować suplementację witaminą A.

W przypadku pacjentów, u których choroba postępuje do polineuropatii w III stadium zaawansowania, lekarz może kontynuować leczenie, jeżeli korzyści przeważają nad ryzykiem.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Wainzua znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



Jak działa lek Wainzua

U pacjentów z amyloidozą ATTRv krążące w krwiobiegu białko zwane transtyretyną (TTR) ma nieprawidłową budowę i łatwo ulega rozkładowi. Rozłożone białko powoduje powstanie złogów amyloidu w tkankach i narządach w całym organizmie, w tym wokół nerwów, i zaburza ich prawidłowe działanie.

Substancja czynna leku Wainzua — eplontersen — to oligonukleotyd antysensowny, czyli krótki fragment syntetycznego materiału genetycznego zaprojektowany w taki sposób, aby przyłączał się do materiału genetycznego komórek odpowiedzialnych za wytwarzanie transtyretyny i je blokował. Powoduje to zmniejszenie wytwarzania transtyretyny, a co za tym idzie — ograniczenie powstawania złogów amyloidu i złagodzenie objawów amyloidozy ATTRv.

Korzyści ze stosowania leku Wainzua wykazane w badaniach

W jednym badaniu głównym z udziałem 144 pacjentów z amyloidozą ATTRv z uszkodzeniem nerwów w 1. lub 2. stadium wykazano, że lek Wainzua jest skuteczniejszy niż placebo (leczenie pozorowane) w spowalnianiu uszkodzenia nerwów spowodowanego chorobą.

Głównymi kryteriami oceny skuteczności były zmiana stężenia TTR we krwi pacjentów oraz zmiany stopnia uszkodzenia nerwów i jakości życia (mierzone za pomocą standardowych skal nazywanych odpowiednio mNIS+7 oraz Norfolk QoL-DN) po 65 tygodniach leczenia. Dane z tego badania porównano z danymi dotyczącymi grupy placebo z innego badania przeprowadzonego dla leku Tegsedi (innego leku na amyloidozę ATTR).

W badaniu głównym wykazano, że u pacjentów stosujących lek Wainzua stężenie TTR we krwi spadło o 80%, a u pacjentów otrzymujących placebo — o 10%. Wynik w skali mNIS+7, stosowany do oceny uszkodzenia nerwów, w przypadku leku Wainzua wskazywał na mniejszy stopień progresji (około 3 punktów) niż w przypadku placebo (około 26 punktów). Jakość życia, mierzona wynikiem w skali Norfolk QoL-DN, u pacjentów leczonych lekiem Wainzua poprawiła się o około 6 punktów, a u pacjentów otrzymujących placebo pogorszyła o około 14 punktów.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Wainzua

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Wainzua znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Wainzua (mogące wystąpić częściej niż u 9 na 10 pacjentów) to spadek stężenia witaminy A. Innymi częstymi działaniami niepożądanymi związanymi ze stosowaniem leku Wainzua (mogącymi wystąpić u 1 na 10 pacjentów) są wymioty.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Wainzua w UE

Wykazano, że lek Wainzua znacząco obniża stężenie TTR we krwi, spowalnia uszkodzenie nerwów i poprawia jakość życia pacjentów z amyloidozą ATTRv z uszkodzeniem nerwów w 1. albo 2. stadium zaawansowania. W kontekście bezpieczeństwa stosowania działania niepożądane leku mają zwykle nasilenie łagodne lub umiarkowane i uznawane są za możliwe do opanowania.

Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Wainzua przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Wainzua

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Wainzua w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Wainzua są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Wainzua są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Wainzua

Dalsze informacje dotyczące leku Wainzua znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua