



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Um resumo sobre Wainzua e por que está autorizado na UE

O que é Wainzua e para que é utilizado?

Wainzua é um medicamento utilizado no tratamento de lesões ao nível dos nervos causadas por amiloidose hereditária mediada por transtirretina (ATTRh), uma doença na qual proteínas anormais denominadas amiloides se acumulam nos tecidos do organismo, incluindo à volta dos nervos.

Wainzua é utilizado em adultos nos primeiros dois estádios das lesões ao nível dos nervos (estádio 1, quando o doente consegue caminhar sem ajuda, e estágio 2, quando o doente ainda consegue caminhar, mas necessita de ajuda).

Wainzua contém a substância ativa eplontersen.

Como se utiliza Wainzua?

Wainzua só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com amiloidose. O tratamento deve ser iniciado o mais rapidamente possível após o início dos sintomas, para evitar a posterior progressão da doença.

O medicamento é administrado uma vez por mês através de uma injeção sob a pele no abdómen (barriga), na região superior da coxa ou na parte superior do braço, utilizando uma caneta pré-cheia. Os doentes ou os seus cuidadores podem administrar Wainzua, mas a primeira injeção deve ser administrada sob a orientação de um profissional de saúde. Os doentes devem tomar suplementos de vitamina A durante o tratamento com Wainzua.

Nos doentes cuja doença evolui para polineuropatia de estágio 3, o médico pode manter o tratamento se os benefícios forem superiores aos riscos.

Para mais informações sobre a utilização de Wainzua, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Wainzua?

Em doentes com amiloidose ATTRh, a transtirretina (TTR), uma proteína que circula no sangue, apresenta-se defeituosa e sofre uma interrupção muito facilmente. A proteína decomposta forma

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



depósitos amiloides nos tecidos e órgãos do corpo, incluindo à volta dos nervos, onde interfere com as suas funções normais.

A substância ativa de Wainzua, eplontersen, é um «oligonucleótido antisense», um pequeno fragmento de material genético sintético que foi concebido para se ligar à célula responsável por produzir a transtirretina e bloquear o seu material genético. Esta ação reduz a produção de transtirretina, diminuindo assim a formação de amiloides e atenuando os sintomas da amiloidose ATTRh.

Quais os benefícios demonstrados por Wainzua durante os estudos?

Num estudo principal que incluiu 144 doentes com amiloidose ATTRh com lesões ao nível dos nervos de estadio 1 ou 2, Wainzua demonstrou ser mais eficaz do que o placebo (um tratamento simulado) no abrandamento das lesões nervosas causadas pela doença.

Os principais parâmetros de eficácia foram a alteração dos níveis de TTR no sangue dos doentes e alterações nas lesões ao nível dos nervos e na qualidade de vida (medidas, utilizando escalas convencionais denominadas «mNIS+7» e «Norfolk QoL-DN», respetivamente) após 65 semanas de tratamento. Os dados deste estudo foram comparados com os do grupo placebo de outro estudo realizado para o Tegsedi (outro medicamento para a amiloidose ATTR).

O estudo principal demonstrou que o nível de TTR no sangue diminuiu 80 % nos doentes tratados com Wainzua e 10 % nos doentes que receberam o placebo. A classificação mNIS+7, utilizada para avaliar as lesões ao nível dos nervos, piorou em menor grau com Wainzua (cerca de 3 pontos) do que com o placebo (cerca de 26 pontos). A qualidade de vida, medida pela escala do questionário Norfolk QoL-DN, melhorou cerca de 6 pontos nos doentes tratados com Wainzua, em comparação com um agravamento de cerca de 14 pontos nos doentes a receber placebo.

Quais são os riscos associados a Wainzua?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Wainzua, consulte o Folheto Informativo.

O efeito secundário mais frequente associado a Wainzua (que pode afetar mais de 9 em cada 10 pessoas) é a diminuição dos níveis de vitamina A. Outro efeito secundário frequente associado a Wainzua (que pode afetar 1 em cada 10 pessoas) são os vômitos.

Porque está Wainzua autorizado na UE?

Wainzua demonstrou reduzir significativamente os níveis de TTR no sangue, abrandar as lesões ao nível dos nervos e melhorar a qualidade de vida em doentes com amiloidose ATTRh com lesões a nível nervoso de estadio 1 ou de estadio 2. Relativamente à segurança, os efeitos secundários são geralmente de intensidade ligeira a moderada e são considerados controláveis.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Wainzua são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Wainzua?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Wainzua.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Wainzua são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Wainzua são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Wainzua

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:

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