



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Wainzua (*eplontersen*)

Prezentare generală a Wainzua și motivele autorizării medicamentului în UE

### Ce este Wainzua și pentru ce se utilizează?

Wainzua este un medicament utilizat pentru tratamentul afectării neurologice provocate de amiloidoza ereditară mediată de transtiretină (*hereditary transthyretin amyloidosis*, hATTR), o boală în care se acumulează în țesuturile organismului, inclusiv în jurul nervilor proteine anormale numite amiloide.

Wainzua se utilizează la adulți în primele două stadii de afectare neurologică (stadiul 1, când pacientul poate merge fără ajutor, și stadiul 2, când pacientul încă mai poate merge, dar are nevoie de ajutor).

Wainzua conține substanța activă eplontersen.

### Cum se utilizează Wainzua?

Wainzua se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul pacienților cu amiloidoză. Tratamentul trebuie început cât mai curând posibil după debutul simptomelor, pentru a se evita progresia ulterioară a bolii.

Medicamentul se administrează o dată pe lună sub formă de injecție subcutanată în abdomen (burtă), în partea superioară a coapsei sau în partea superioară a brațului, utilizând un stilou injector preumplut. Pacienții sau îngrijitorii lor pot administra ei înșiși injecția cu Wainzua, dar prima injecție trebuie făcută sub îndrumarea unui cadru medical. Pe durata tratamentului cu Wainzua, pacienții trebuie să ia suplimente de vitamina A.

În cazul pacienților la care boala progresează până în stadiul 3 de polineuropatie, medicul poate continua tratamentul dacă beneficiile sunt mai mari decât riscurile.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Wainzua, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

### Cum acționează Wainzua?

La pacienții cu amiloidoză hATTR, o proteină numită transtiretină (TTR), care circulă în sânge, este afectată și se descompune ușor. Proteina descompusă se acumulează în depozite de amiloid în țesuturi și organe din organism, inclusiv în jurul nervilor, interferând astfel cu funcțiile normale ale acestora.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Substanța activă din Wainzua, eplontersenul, este o „oligonucleotidă antisens”, un fragment mic de material genetic sintetic care a fost conceput să se lege de materialul genetic al celulei responsabile pentru producerea transtiretinei și să-i blocheze acțiunea. În acest fel se reduce producția de transtiretină, încetinind astfel formarea de amiloide și ameliorând simptomele amiloidozei hATTR.

## **Ce beneficii a prezentat Wainzua pe parcursul studiilor?**

Într-un studiu principal care a cuprins 144 de pacienți cu amiloidoză hATTR în stadiul 1 sau 2 de afectare neurologică, Wainzua s-a dovedit mai eficace decât placebo (un preparat inactiv) în încetinirea afectării neurologice cauzate de boală.

Principalele măsuri ale eficacității au fost modificarea concentrațiilor de TTR din sânge și modificări ale afectării neurologice și ale calității vieții pacienților (măsurate cu ajutorul scărilor standard numite „mNIS + 7” și, respectiv, „Norfolk QoL-DN”) după 65 de săptămâni de tratament. Datele din acest studiu au fost comparate cu cele pentru grupul placebo din alt studiu, care a fost efectuat pentru Tegsedi (alt medicament pentru amiloidoză ATTR).

Studiul principal a arătat că concentrația de TTR din sânge a scăzut cu 80 % la pacienții tratați cu Wainzua și cu 10 % la pacienții cărora li s-a administrat placebo. Scorul mNIS + 7, folosit pentru evaluarea afectării neurologice, s-a înrăutățit într-o măsură mai mică în cazul Wainzua (aproximativ 3 puncte) decât în cazul placebo (aproximativ 26 de puncte). Calitatea vieții, măsurată prin scorul Norfolk QoL-DN, s-a îmbunătățit cu aproximativ 6 puncte la pacienții tratați cu Wainzua, față de o înrăutățire cu aproximativ 14 puncte la cei tratați cu placebo.

## **Care sunt riscurile asociate cu Wainzua?**

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Wainzua, citiți prospectul.

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Wainzua (care poate afecta mai mult de 9 persoane din 10) sunt nivelurile scăzute de vitamina A. Altă reacție adversă frecventă asociată cu Wainzua (care poate afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt vărsăturile.

## **De ce a fost autorizat Wainzua în UE?**

S-a demonstrat că Wainzua reduce semnificativ concentrațiile de TTR din sânge, încetinește afectarea neurologică și îmbunătățește calitatea vieții la pacienții cu amiloidoză hATTR în stadiul 1 sau 2 de afectare neurologică. În ceea ce privește siguranța, reacțiile adverse sunt de obicei ușoare până la moderate ca intensitate și sunt considerate gestionabile terapeutic.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Wainzua sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

## **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Wainzua?**

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Wainzua, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Wainzua sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Wainzua sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

## **Alte informații despre Wainzua**

Mai multe informații despre Wainzua se pot găsi pe site-ul agenției:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua)