



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Prehľad o lieku Wainzua a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Wainzua a na čo sa používa?

Liek Wainzua sa používa na liečbu poškodenia nervov spôsobeného dedičnou transtyreťínovou amyloidózou (ATTRv), ochorením, pri ktorom sa abnormálne proteíny nazývané amyloidy hromadia v tkanivách tela vrátane tkanív obklopujúcich nervy.

Liek Wainzua sa používa u dospelých pacientov v prvých dvoch štádiách poškodenia nervov (1. štádium, keď je pacient schopný chodiť bez pomoci, a 2. štádium, keď pacient môže ešte chodiť, ale potrebuje pomoc).

Liek Wainzua obsahuje liečivo eplontersen.

Ako sa liek Wainzua používa?

Výdaj lieku Wainzua je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s amyloidózou. Liečba sa má začať čo najskôr po začatí príznakov, aby sa zabránilo ďalšej progresii ochorenia.

Liek sa podáva jedenkrát mesačne vo forme injekcie pod kožu v bruchu, hornej časti stehna alebo hornej časti ramena pomocou naplneného pera. Pacienti alebo ich opatrovatelia môžu injekciu lieku Wainzua podávať sami, ale prvá injekcia sa má podať pod vedením zdravotníckeho pracovníka. Pacienti majú počas liečby liekom Wainzua užívať doplnky s vitamínom A.

V prípade pacientov, ktorých ochorenie sa zhorší na 3. stupeň polyneuropatie, lekár môže pokračovať v liečbe, ak prínosy prevyšujú riziká.

Viac informácií o používaní lieku Wainzua si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Ako kým spôsobom liek Wainzua účinkuje?

U pacientov s ATTRv amyloidózou je proteín nazývaný transtyreťín (TTR), ktorý cirkuluje v krvi, je chybný a ľahko sa rozkladá. Rozložený proteín vytvára depozity amyloidov v tkanivách a orgánoch tela vrátane tkanív obklopujúcich nervy, kde narušuje ich normálne funkcie.



Liečivo lieku Wainzua, eplontersen, je antimediatorový oligonukleotid, krátky kúsok syntetického genetického materiálu, ktorý bol navrhnutý tak, aby sa naviazal na genetický materiál bunky zodpovedný za tvorbu transtyreínu a zablokoval ho. Tým sa znižuje tvorba transtyreínu, čím sa znižuje tvorba amyloidov a zmierňujú sa príznaky ATTRv amyloidózy.

Aké prínosy lieku Wainzua boli preukázané v štúdiách?

V jednej hlavnej štúdii zahŕňajúcej 144 pacientov s ATTRv amyloidózou s poškodením nervov v 1. alebo 2. štádiu sa preukázalo, že liek Wainzua je účinnejší ako placebo (zdanlivý liek) pri spomaľovaní poškodenia nervov spôsobeného ochorením.

Hlavnými meradlami účinnosti boli zmena hladiny TTR v krvi pacientov a zmeny v poškodení nervov a kvalite života (merané pomocou štandardných stupníc nazývaných „mNIS+7“ a „Norfolk QoL-DN“) po 65 týždňoch liečby. Údaje z tejto štúdie sa porovnali s údajmi pre skupinu s placebom z inej štúdie, ktorá sa uskutočnila pre liek Tegsedi (ďalší liek na ATTR amyloidózu).

V hlavnej štúdii sa preukázalo, že hladina TTR v krvi sa znížila o 80 % u pacientov liečených liekom Wainzua a o 10 % u pacientov, ktorí dostávali placebo. Skóre mNIS+7, ktoré sa použilo na posúdenie poškodenia nervov, sa pri lieku Wainzua zhoršilo v menšej miere (približne o 3 body), ako pri placebe (približne 26 bodov). Kvalita života, meraná pomocou skóre Norfolk QoL-DN, sa zlepšila približne o 6 bodov u pacientov liečených liekom Wainzua, v porovnaní so zhoršením približne o 14 bodov u pacientov užívajúcich placebo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Wainzua?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Wainzua a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejším vedľajším účinkom lieku Wainzua (ktorý môže postihnúť viac ako 9 osôb z 10) je znížená hladina vitamínu A. Ďalším častým vedľajším účinkom lieku Wainzua (ktorý môže postihnúť až 1 osobu z 10) je vracanie.

Prečo bol liek Wainzua povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Wainzua významne znižuje hladinu TTR v krvi, spomaľuje poškodenie nervov a zlepšuje kvalitu života u pacientov s ATTRv amyloidózou s poškodením nervov v 1. alebo 2. štádiu. Pokiaľ ide o bezpečnosť, vedľajšie účinky sú zvyčajne miernej až strednej intenzity a považujú sa za zvládnuteľné.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Wainzua sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Wainzua?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Wainzua boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Wainzua sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Wainzua sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Wainzua

Ďalšie informácie o lieku Wainzua sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua