



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Pregled zdravila Wainzua in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Wainzua in za kaj se uporablja?

Zdravilo Wainzua se uporablja za zdravljenje poškodbe živcev, ki jo povzroča dedna transtiretinska amiloidoza (ATTRv), tj. bolezen, pri kateri se beljakovine, imenovane amiloidi, kopičijo v tkivih po telesu, tudi okoli živcev.

Zdravilo Wainzua se uporablja pri odraslih bolnikih pri prvih dveh stopnjah poškodbe živcev (pri 1. stopnji, pri kateri bolnik lahko hodi brez pomoči, in 2. stopnji, pri kateri bolnik še lahko hodi, vendar potrebuje pomoč).

Zdravilo Wainzua vsebuje učinkovino eplontersen.

Kako se zdravilo Wainzua uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Wainzua je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z amiloidozo. Zdravljenje je treba začeti čim prej po pojavu simptomov, da se prepreči nadaljnje napredovanje bolezni.

Zdravilo se daje enkrat na mesec z injiciranjem v podkožje trebuha, zgornjega dela stegna ali nadlakti s pomočjo napolnjenega injekcijskega peresnika. Bolniki ali njihovi negovalci si lahko zdravilo Wainzua injicirajo sami, vendar je treba prvo injiciranje izvesti pod vodstvom zdravstvenega delavca. Bolniki morajo med zdravljenjem z zdravilom Wainzua jemati dodatke vitamina A.

Pri bolnikih, pri katerih bolezen napreduje do polinevropatije 3. stopnje, lahko zdravnik zdravljenje nadaljuje, če koristi odtehtajo tveganja.

Za več informacij glede uporabe zdravila Wainzua glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Wainzua deluje?

Pri bolnikih z dedno transtiretinsko amiloidozo (ATTRv) je beljakovina, imenovana transtiretin (TTR), ki kroži v krvi, poškodovana in hitro razpade. Razgrajena beljakovina tvori amiloidne skupke v tkivih in organih po vsem telesu, tudi okoli živcev, v katerih moti njihovo normalno delovanje.

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



Učinkovina v zdravilu Wainzua, eplontersen, je „protismerni oligonukleotid“, tj. kratek košček sintetičnega genetskega materiala, ki je bil zasnovan tako, da se pritrdi na genetski material celice, odgovorne za tvorbo transtiretina, in ga zavira. Tako se zmanjša tvorba transtiretina, kar zmanjša nastajanje amiloidov in olajša simptome amiloidoze ATTRv.

Kakšne koristi zdravila Wainzua so se pokazale v študijah?

V eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 144 bolnikov z amiloidozo ATTRv s 1. ali 2. stopnjo poškodbe živcev, se je zdravilo Wainzua izkazalo za učinkovitejše od placeba (zdravila brez učinkovine) pri upočasnitvi napredovanja poškodbe živcev, ki jo povzroča bolezen.

Glavna merila učinkovitosti so bile spremembe ravni TTR v krvi bolnikov ter spremembe poškodbe živcev in kakovosti življenja (merjene s standardnimi lestvicami, imenovanimi „mNIS+7“ oziroma „Norfolk QoL-DN“) po 65 tednih zdravljenja. Podatke iz te študije so primerjali s podatki skupine, ki je prejela placebo, iz druge študije, ki je bila izvedena za zdravilo Tegsedi (drugo zdravilo za zdravljenje dedne transtiretinske amiloidoze).

Glavna študija je pokazala, da se je raven TTR v krvi znižala za 80 % pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Wainzua, in za 10 % pri bolnikih, ki so prejeli placebo. Rezultat po lestvici mNIS+7, ki je bila uporabljena za oceno poškodbe živcev, se je pri zdravilu Wainzua poslabšala v manjši meri (približno 3 točke) kot pri placebu (približno 26 točk). Kakovost življenja, merjena z oceno po lestvici Norfolk QoL-DN, se je pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Wainzua, izboljšala za približno 6 točk, pri bolnikih, ki so prejeli placebo, pa se je poslabšala za približno 14 točk.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Wainzua?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Wainzua glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Wainzua (ki se lahko pojavi pri več kot 9 bolnikih od 10) je nizka raven vitamina A. Drugi pogosti neželeni učinek zdravila Wainzua (ki se lahko pojavi pri največ 1 bolniku od 10) je bruhanje.

Zakaj je bilo zdravilo Wainzua odobreno v EU?

Dokazano je bilo, da zdravilo Wainzua znatno zniža ravni TTR v krvi, upočasni napredovanje poškodbe živcev in izboljša kakovost življenja pri bolnikih z ATTRv s poškodbo živcev 1. ali 2. stopnje. Kar zadeva varnost, so neželeni učinki običajno blagi do zmerni in se štejejo za obvladljive.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Wainzua večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Wainzua?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Wainzua upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Wainzua stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Wainzua, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Wainzua

Nadaljnje informacije za zdravilo Wainzua so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/wainzua