



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Wainzua (*eplontersen*)

Sammanfattning av Wainzua och varför det är godkänt inom EU

Vad är Wainzua och vad används det för?

Wainzua är ett läkemedel som används för att behandla nervskador som orsakas av ärftlig transtyretinamyloidos (ATTRv-amyloidos, skelleftesjukan), en sjukdom där avvikande proteiner som kallas amyloider ansamlas i vävnader på olika ställen i kroppen, bland annat runt nerverna.

Wainzua ges till vuxna under de två första stadierna av nervskadan (stadium 1, när patienten kan gå utan stöd, och stadium 2, när patienten fortfarande kan gå men behöver hjälp).

Wainzua innehåller den aktiva substansen eplontersen.

Hur används Wainzua?

Wainzua är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med amyloidos. Behandlingen ska påbörjas så snart symtomen uppträder för att undvika att sjukdomen förvärras ytterligare.

Läkemedlet ges en gång i månaden som en injektion under huden i buken (magen), övre delen av låret eller överarmen med en förfylld injektionspenna. Patienterna eller deras vårdare kan själva injicera Wainzua, men den första injektionen ska göras under vägledning av hälso- och sjukvårdspersonal. Patienterna ska ta tillskott av vitamin A under behandlingen med Wainzua.

För patienter vars sjukdom utvecklas till stadium 3 av polyneuropati kan läkaren fortsätta behandlingen om fördelarna är större än riskerna.

För mer information om hur du använder Wainzua, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Wainzua?

Hos patienter med ATTRv-amyloidos cirkulerar ett defekt protein i blodet som kallas transtyretin (TTR) och som lätt bryts sönder. Det sönderbrutna proteinet bildar ansamlingar av amyloid i vävnader och organ på olika ställen i kroppen, bland annat runt nerverna, där det stör deras normala funktion.

Den aktiva substansen i Wainzua, eplontersen, är en "antisensoligonukleotid", en kort bit syntetiskt genetiskt material som har utformats för att fästa vid och blockera det genetiska material i cellen som

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



ansvarar för att producera transtyretin. Detta minskar produktionen av transtyretin, vilket gör att färre amyloider bildas och att symtomen på ATTRv-amyloidosis lindras.

Vilka fördelar med Wainzua har visats i studierna?

I en huvudstudie på 144 patienter med ATTRv-amyloidosis som hade nervskada i stadium 1 eller 2 visade sig Wainzua vara effektivare än placebo (overksam behandling) när det gäller att sakta ner den nervskada som sjukdomen orsakar.

Huvudeffektmåttan var förändringen av patienternas nivåer av TTR i blodet och förändringar i nervskadan och livskvaliteten (uppmätt med hjälp av standardskalorna mNIS+7 respektive Norfolk QoL-DN) efter 65 veckors behandling. Data från denna studie jämfördes med data för placebogruppen från en annan studie som utfördes för Tegsedi (ett annat läkemedel mot ATTR-amyloidosis).

Huvudstudien visade att TTR-nivån i blodet minskade med 80 procent hos patienter som behandlades med Wainzua och med 10 procent hos patienter som fick placebo. mNIS+7-värdet, som används för att bedöma nervskada, försämrades i mindre utsträckning med Wainzua (cirka 3 poäng) än med placebo (cirka 26 poäng). Livskvaliteten, som uppmättes genom Norfolk QoL-DN-värdet, förbättrades med cirka 6 poäng hos patienter som behandlades med Wainzua, jämfört med en försämring på cirka 14 poäng hos dem som fick placebo.

Vilka är riskerna med Wainzua?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Wainzua finns i bipacksedeln.

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Wainzua (kan förekomma hos fler än 9 av 10 användare) är sänkta nivåer av vitamin A. En annan vanlig biverkning som orsakas av Wainzua (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är kräkningar.

Varför är Wainzua godkänt i EU?

Wainzua visade sig signifikant sänka nivåerna av TTR i blodet, sakta ner nervskadan och förbättra livskvaliteten hos patienter med ATTRv-amyloidosis med nervskada i stadium 1 eller stadium 2. När det gäller säkerheten är biverkningarna vanligtvis lindriga till måttliga i intensitet och anses hanterbara.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Wainzua är större än riskerna och att Wainzua kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Wainzua?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Wainzua har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Wainzua kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Wainzua utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Wainzua

Mer information om Wainzua finns på EMA:s webbplats:

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