

## COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene a Medicamentului (European Medicines Agency = EMA) referitor la recomandarea EMA privind autorizarea pentru punere pe piață a medicamentului Waylivra (volanesorsen), primul tratament pentru sindromul chilomicronemiei familiale, boală rară caracterizată de prezența unor niveluri ridicate de trigliceride în sânge

EMA, 1 martie 2019

### Comunicat de presă EMA

**referitor la recomandarea EMA privind autorizarea pentru punere pe piață a medicamentului Waylivra (volanesorsen), primul tratament pentru sindromul chilomicronemiei familiale, boală rară caracterizată de prezența unor niveluri ridicate de trigliceride în sânge**

Agenția Europeană a Medicamentului (EMA) recomandă acordarea condiționată a autorizației de punere pe piața UE pentru medicamentul Waylivra (volanesorsen), primul medicament indicat în tratamentul sindromului chilomicronemiei familiale (SCF).

SCF este o boală genetică rară, care împiedică descompunerea grăsimilor (lipidelor) în organism, ceea ce provoacă o serie de simptome printre care, de exemplu, dureri abdominale severe, crize de pancreatită acută cu potențial de deces, hepatosplenomegalie, diabet, incapacitate de concentrare, pierderi de memorie și formarea de punji subcutanate cu grăsime (cunoscute sub denumirea de xantoma).

În prezent, pe piață nu există niciun medicament autorizat pentru tratarea acestei boli rare. Pentru reducerea nivelului trigliceridelor și prevenirea pancreatitei, pacienții trebuie să-și limiteze cu strictețe aportul de grăsimi prin dietă, lucru nu întotdeauna fezabil și suficient de eficace. Medicamentele existente pentru scăderea nivelului de lipide prezintă eficacitate minimă în ceea ce privește reducerea nivelurilor de trigliceride la pacienții cu SCF, înregistrându-se astfel o urgentă necesitate medicală neacoperită de medicamente și noi tratamente care să vină în sprijinul pacienților în gestionarea bolii.

Beneficiile clinice și siguranța în utilizare a medicamentului Waylivra au fost cercetate în cadrul unui studiu clinic de fază III, la care au participat 66 de pacienți cu SCF. Conform datelor rezultate din studiu, în trei luni de tratament cu medicamentul Waylivra, nivelurile de trigliceride din sângele pacienților respectivi se redusese în medie cu 77%, în comparație cu 18% în cadrul grupului-control, cărui i se administrase placebo. Este de așteptat ca reducerea substanțială observată a nivelurilor de trigliceride să conducă la o diminuare a incidenței pancreatitei care poate pune viața în pericol. Cele mai frecvente efecte secundare sunt scăderea numărului de trombocite și reacțiile de la locul administrării injecției. În numeroase cazuri, în studiile efectuate cu

medicamentul Waylivra s-a observat reducerea severă a numărului de trombocite, ceea ce poate determina mărirea riscului de sângerare. Pentru gestionarea riscului respectiv, se va pune în aplicare o serie de măsuri suplimentare de reducere la minimum a riscurilor, inclusiv ghiduri stricte de dozare bazate pe monitorizarea regulată a trombocitelor și informații specifice adresate pacienților și persoanelor care le asigură îngrijirea privitor la acest risc potențial. În cadrul prevederilor aceleiași autorizări condiționate, solicitantul trebuie să efectueze și un studiu de investigare în continuare a siguranței și eficacității medicamentului precum și a fezabilității măsurilor puse în practică pentru reducerea riscului.

Autorizarea condiționată este unul dintre mecanismele de reglementare aplicabile în UE menite să faciliteze accesul precoce la medicamente care răspund unei necesități medicale neacoperite. Mecanismul autorizării condiționate permite EMA să recomande autorizarea pentru punere pe piață a unui medicament în interes de sănătate publică, în cazul în care beneficiul punerii imediate a medicamentului respectiv la dispoziția pacienților depășește riscul determinat de lipsa pe moment a tuturor datelor referitoare la acesta.

SCF este o boală rară, iar tratamentul acesteia a fost desemnat ca orfan în UE în luna februarie 2014, la momentul desemnării considerându-se că boala afectă sub 1/100 000 de persoane. Așa cum prevede procedura la momentul aprobării, această desemnare ca medicament orfan urmează analizată de Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products = COMP), stabilindu-se astfel dacă informațiile avute la dispoziție permit menținerea statutului de orfan al medicamentului Waylivra și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru acest medicament.

Opinia adoptată de CHMP privitoare la medicamentul Waylivra constituie o etapă intermediară în procesul de punere a acestuia la dispoziția pacientului. În momentul de față, această opinie urmează a fi trimisă către Comisia Europeană în vederea adoptării unei decizii privind acordarea autorizației de punere pe piață valabile la în întreaga UE. Odată acordată această autorizație, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile privind prețul și rambursarea, pe baza rolului potențial/utilizării medicamentului în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Notes

Notă:

Solicitantul de autorizare pentru punerea pe piață a medicamentului Waylivra este compania Akcea Therapeutics Ireland Ltd.