

Kurzbericht Arzneimittelzulassung vom 24.10.2025

Wainzua® (Wirkstoff: Eplontersen)

Zulassung in der Schweiz: 14.02.2025

Injektionslösung zur Behandlung von Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 bei Erwachsenen mit hereditärer Transthyretin-Amyloidose (ATTRv)

Über das Arzneimittel

Wainzua enthält den Wirkstoff Eplontersen und wird als Injektionslösung verabreicht.

Wainzua wird zur Behandlung von erwachsenen Patienten und Patientinnen mit Polyneuropathie¹ im frühen und fortgeschrittenen Stadium (Stadium 1 und 2) eingesetzt, welche durch eine erbliche Erkrankung, der sogenannten hereditären Transthyretin-Amyloidose (ATTRv) verursacht wird. Bei dieser Erkrankung lagert sich mutiertes (fehlerhaftes)

Transthyretin (TTR)² im Körpergewebe ab, was zu Organ- und Nervenschäden führt.

Da es sich bei dieser Krankheit um eine seltene und lebensbedrohende Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet.

Wirkung

Das Arzneimittel Wainzua enthält den Wirkstoff Eplontersen, der als sogenanntes Antisense-Oligonukleotid (ASO) die Produktion von Transthyretin (TTR) in der Leber reduziert. Dabei gelangt weniger TTR ins

Blut, was die Bildung schädlicher Ablagerungen im Gewebe reduziert. Auf diese Weise können Symptome der durch ATTRv ausgelösten Polyneuropathie verlangsamt oder gestoppt werden.

¹ Polyneuropathie: Erkrankung, bei der viele Nerven im Körper geschädigt sind, was zu Kribbeln, Taubheit, Muskelschwäche oder Problemen mit Organfunktionen führen kann.

² Transthyretin (TTR): Ein Protein, das hauptsächlich in der Leber gebildet wird. Es transportiert Schilddrüsenhormone und Vitamin A im Blut.

Anwendung

Wainzua ist rezeptpflichtig und wird als Injektionslösung in einem Einmal-Fertigpen³ zur subkutanen Anwendung⁴ verabreicht. Die empfohlene Dosis beträgt 45 mg des Wirkstoffs Eplontersen (entspricht der Dosis pro Einmal-Fertigpen) und wird einmal monatlich gespritzt. Die erste Anwendung sollte von einer qualifizierten medizinischen

Fachkraft angeleitet werden, um sicherzustellen, dass der Patient oder die Patientin beziehungsweise die betreuende Person die Injektion korrekt durchführen kann. Der Fertigpen sollte mindestens 30 Minuten vor der Injektion aus dem Kühlschrank genommen werden, damit der Wirkstoff Raumtemperatur erreicht.

Wirksamkeit

Die Wirksamkeit von Wainzua wurde in der Studie NEURO-TTRansform untersucht, die an mehreren Standorten durchgeführt wurde. Die Studie war offen⁵ und stützte sich auf externe Kontrollen⁶. Insgesamt nahmen 168 Patienten und Patientinnen mit ATTRv-Polyneuropathie teil. Die Studienteilnehmenden wurden zufällig im Verhältnis 6:1 mit Wainzua oder dem Vergleichspräparat Inotersen behandelt.

Die Wirksamkeit von Wainzua wurde hauptsächlich anhand folgender Kriterien beurteilt: Der Serum-TTR-Konzentration

(Transthyretinkonzentration im Blut), der Verbesserung des mNIS+7-Scores (Mass für den Schweregrad der Polyneuropathie) und der Verbesserung des Norfolk QoL-DN Scores (Mass für die Lebensqualität der Patienten und Patientinnen).

Die Ergebnisse zeigten, dass die Behandlung mit Wainzua im Vergleich zur externen Placebogruppe in allen drei Bereichen eine signifikante Verbesserung erzielte.

Vorsichtsmassnahmen, unerwünschte Wirkungen & Risiken

Wainzua darf bei einer Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder einem der Hilfsstoffe nicht angewendet werden.

Die häufigste unerwünschte Wirkung von Wainzua (betrifft mehr als 1 von 10 Anwendern) ist ein erniedrigter Vitamin-A-Wert im Blut. Deshalb wird während der Behandlung eine Vitamin-A-Ergänzung empfohlen. Zudem ist eine erhöhte Aufmerksamkeit für Symptome eines Vitamin-A-Mangels, wie Sehstörungen, erforderlich.

Weitere häufige unerwünschte Wirkungen (Betrifft mehr als 1 von 100 Anwendern) sind Erbrechen und Reaktionen an der Einstichstelle, wie Rötungen, Schmerzen und Juckreiz.

Alle Vorsichtsmassnahmen, Risiken und weitere mögliche unerwünschte Wirkungen sind in der Patientinnen- und Patienteninformation (Packungsbeilage) sowie in der Fachinformation aufgeführt.

³ Einmal-Fertigpen: Ein vorgefülltes, gebrauchsfertiges Injektionsgerät, das nur einmal verwendet wird und danach entsorgt wird.

⁴ Subkutane Anwendung: Das Arzneimittel wird mit einer feinen Nadel unter die Haut gespritzt, ins Fettgewebe.

⁵ Offene Studie: Eine klinische Studie ohne Verblindung, d. h. sowohl Studienteilnehmende als auch Prüfarzte und Prüfarztinnen wissen, welche Behandlung verabreicht wird.

⁶ Externe Kontrolle: Vergleich der internen Ergebnisse mit externen Referenzdaten (Daten aus anderen Studien oder Registern).

Begründung des Zulassungsentscheids

Hereditäre Transthyretin-vermittelte Amyloidose (ATTRv) ist eine seltene, schnell fortschreitende Krankheit, die zu schwerwiegenden Nervenschädigungen und vorzeitigem Tod führen kann. Bisher standen nur begrenzte Behandlungsoptionen zur Verfügung.

Wainzua deckt mit seinem Wirkstoff Eplontersen den Bedarf an einer effektiven Behandlung für Patienten und Patientinnen mit ATTRv-assoziiierter Polyneuropathie. Daten aus klinischen Studien zeigten, dass

Wainzua signifikant das Fortschreiten der Krankheit verlangsamen kann. Die häufigsten Nebenwirkungen, wie ein erniedrigter Vitamin-A-Spiegel, sind kontrollierbar.

Unter Berücksichtigung aller Risiken und Vorsichtsmassnahmen und aufgrund der vorliegenden Daten überwiegen die Vorteile von Wainzua die Risiken. Swissmedic hat daher das Arzneimittel Wainzua mit dem Wirkstoff Eplontersen für die Schweiz zugelassen.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal: [Fachinformation Wainzua®](#)

Information für Patientinnen und Patienten (Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Wainzua®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Kurzbericht Arzneimittelzulassung ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirksamkeit oder die Sicherheit dieses Arzneimittels beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.