

Rapport succinct d'autorisation du 24.10.2025

Wainzua[®] (principe actif : éplontersen)

Autorisation en Suisse : 14.02.2025

Solution injectable pour le traitement de la polyneuropathie de stade 1 ou 2 associée à une amyloïdose héréditaire à transthyréline (ATTRv) chez les patients adultes

À propos du médicament

Wainzua contient le principe actif éplontersen. Cette préparation est administrée sous forme de solution injectable.

Wainzua est utilisé pour le traitement de patients adultes atteints de polyneuropathie¹ à un stade précoce ou avancé (stades 1 et 2), causée par une pathologie héréditaire appelée amyloïdose héréditaire à transthyréline (ATTRv). Cette maladie engendre une accumulation dans les tissus de transthyréline

(TTR)² mutée (défectueuse), ce qui entraîne des lésions organiques et nerveuses.

Cette pathologie étant une maladie rare mettant en danger la vie des patients, la préparation a été autorisée en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments contre des maladies rares.

Action

Le médicament Wainzua contient le principe actif éplontersen, qui, en tant qu'oligonucléotide antisens (ASO), réduit la quantité de transthyréline (TTR) produite par le foie. Il y a donc moins de protéines TTR

dans le sang, ce qui diminue la formation de dépôts nocifs dans les tissus. Les symptômes de la polyneuropathie découlant de l'ATTRv peuvent ainsi être ralentis, voire stoppés.

¹ Polyneuropathie : maladie caractérisée par une atteinte de nombreux nerfs dans l'organisme, pouvant entraîner des fourmillements, un engourdissement, une faiblesse musculaire ou des troubles fonctionnels des organes.

² Transthyréline (TTR) : protéine principalement synthétisée par le foie. Elle transporte les hormones thyroïdiennes et la vitamine A dans le sang.

Administration

La préparation Wainzua est soumise à ordonnance. Elle est administrée sous forme de solution injectable dans un stylo prérempli à usage unique³ par voie sous-cutanée⁴. La dose recommandée est de 45 mg du principe actif éplontersen (ce qui correspond à la dose d'un stylo prérempli à usage unique), à

injecter une fois par mois. La première injection doit être supervisée par un professionnel de la santé qualifié, afin de s'assurer que le ou la patient(e) ou l'aidant peut la réaliser correctement. Le stylo prérempli doit être sorti du réfrigérateur au moins 30 minutes avant l'injection pour que le principe actif soit à température ambiante.

Efficacité

L'efficacité de Wainzua a été étudiée dans le cadre de l'essai NEURO-TTRansform, qui a été mené sur plusieurs sites. L'étude, en ouvert⁵, reposait sur des contrôles externes⁶. Au total, 168 patients atteints de polyneuropathie provoquée par ATTRv y ont pris part. Ils ont été randomisés selon un ratio 6 : 1 pour recevoir soit la préparation Wainzua soit la préparation de comparaison Inotersen.

L'efficacité de Wainzua a été principalement évaluée sur la base des critères suivants : la

concentration sérique de TTR (concentration de transthyrétine dans le sang), l'amélioration du score mNIS+7 (mesure de la sévérité de la polyneuropathie) et celle du score Norfolk QoL-DN (mesure de la qualité de vie des patients).

Les résultats ont montré que le traitement par Wainzua avait permis une amélioration significative des trois critères précités par rapport au groupe placebo externe.

Précautions, effets indésirables et risques

Wainzua ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un des excipients.

L'effet indésirable le plus fréquent de Wainzua (plus d'un patient sur dix) était une réduction du taux de vitamine A dans le sang. Une supplémentation en vitamine A est donc recommandée pendant le traitement. Une attention accrue doit également être portée aux symptômes d'une carence en vitamine A comme des troubles de la vision.

Parmi les autres effets indésirables fréquents (plus d'un patient sur cent), on peut citer : des vomissements et des réactions au point d'injection telles que rougeurs, douleur et démangeaisons.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

³ Stylo prérempli à usage unique : dispositif d'injection prérempli et prêt à l'emploi, qui ne sert qu'une seule fois et qui est éliminé ensuite.

⁴ Administration par voie sous-cutanée : le médicament est injecté sous la peau à l'aide d'une fine aiguille, dans le tissu adipeux.

⁵ Étude en ouvert : essai clinique sans procédure d'insu, c'est-à-dire que les participants à l'étude ainsi que les médecins investigateurs savent quel traitement est administré.

⁶ Contrôle externe : comparaison des résultats internes avec des données de référence externes (données issues d'autres études ou registres).

Justification de la décision d'autorisation

L'amyloïdose héréditaire à transthyrétine (ATTRv) est une maladie rare à progression rapide, qui peut entraîner de graves lésions nerveuses et un décès prématuré. Les options thérapeutiques disponibles étaient jusqu'à présent limitées.

La préparation Wainzua, qui contient le principe actif éplontersen, répond au besoin d'un traitement efficace pour les patients atteints de polyneuropathie associée à une ATTRv. Les données issues d'études cliniques

ont montré que Wainzua pouvait ralentir de manière significative la progression de la maladie. Les effets secondaires les plus fréquents, tels qu'une réduction du taux de vitamine A, peuvent être maîtrisés.

Compte tenu de l'ensemble des risques et des précautions et au vu des données disponibles, les bénéfices de Wainzua sont supérieurs à ses risques. Swissmedic a donc autorisé en Suisse le médicament Wainzua, dont le principe actif est l'éplontersen.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [Information professionnelle de Wainzua®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [Information destinée aux patients de Wainzua®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.