

Rapporto sintetico di omologazione del 24.10.2025

Wainzua[®] (principio attivo: eplontersen)

Omologazione in Svizzera: 14.02.2025

Soluzione iniettabile per il trattamento della polineuropatia di stadio 1 o 2 negli adulti con amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (ATTRv)

Informazioni sul medicamento

Wainzua contiene il principio attivo eplontersen e viene somministrato come soluzione iniettabile.

Wainzua è usato per il trattamento di pazienti adulti con polineuropatia¹ in stadio iniziale e avanzato (stadio 1 e 2), causata da una malattia congenita denominata amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (ATTRv). In questa malattia la transtiretina (TTR)²

mutata (difettosa) si deposita nei tessuti del corpo, causando danni agli organi e ai nervi.

Poiché si tratta di una malattia rara e potenzialmente letale, il medicamento è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali per le malattie rare.

Meccanismo d'azione

Il medicamento Wainzua contiene il principio attivo eplontersen che, in qualità di «oligonucleotide antisense» (ASO), riduce la produzione di transtiretina (TTR) nel fegato. Di conseguenza viene immessa nel

sangue meno TTR, il che riduce la formazione di depositi nocivi nei tessuti. In questo modo i sintomi della polineuropatia indotta da ATTRv possono essere rallentati o eliminati.

¹ Polineuropatia: malattia in cui molti nervi del corpo sono danneggiati, il che può causare formicolio, intorpidimento, debolezza muscolare o disfunzioni degli organi.

² Transtiretina (TTR): una proteina prodotta soprattutto nel fegato. Trasporta ormoni tiroidei e vitamina A nel sangue.

Impiego

Wainzua è soggetto a prescrizione medica e viene somministrato come soluzione iniettabile in una penna preriempita monouso³ per uso sottocutaneo⁴. La dose raccomandata è di 45 mg del principio attivo eplontersen (pari alla dose contenuta in una penna preriempita monouso) da somministrare una volta al mese. La prima somministrazione

deve essere effettuata sotto la guida di un operatore sanitario qualificato per garantire che la/il paziente o la persona che si occupa delle cure possa eseguire correttamente l'iniezione. La penna preriempita deve essere prelevata dal frigorifero almeno 30 minuti prima dell'iniezione, in modo che il principio attivo raggiunga la temperatura ambiente.

Efficacia

L'efficacia di Wainzua è stata valutata nello studio NEURO-TTRansform, condotto in più centri di sperimentazione. Lo studio era in aperto⁵ e faceva riferimento a controlli esterni⁶. In totale hanno partecipato 168 pazienti con polineuropatia da ATTRv. Le persone partecipanti allo studio sono state trattate in modo casuale in rapporto 6:1 con Wainzua o con il preparato di confronto Inotersen.

L'efficacia di Wainzua è stata valutata principalmente in base ai seguenti criteri: la concentrazione sierica di TTR (concentrazione di transtiretina nel sangue), il miglioramento del punteggio mNIS+7 (misura della gravità della polineuropatia) e il miglioramento del punteggio Norfolk QoL-DN (misura della qualità di vita dei pazienti).

I risultati hanno dimostrato che il trattamento con Wainzua ha ottenuto un miglioramento significativo in tutti e tre i parametri rispetto al gruppo placebo esterno.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Wainzua non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria.

L'effetto indesiderato più comune (riguarda più di 1 persona su 10) di Wainzua è la diminuzione dei livelli di vitamina A nel sangue. Pertanto, durante il trattamento si raccomanda un'integrazione con vitamina A. Inoltre, è necessaria una maggiore attenzione a sintomi della carenza di vitamina A quali i disturbi della vista.

Altri effetti indesiderati comuni (riguardano più di 1 persona su 100) sono vomito e reazioni in sede di iniezione quali arrossamento, dolore e prurito.

Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

³ Penna preriempita monouso: dispositivo di iniezione preriempito, pronto per l'uso, che viene utilizzato una sola volta e poi smaltito.

⁴ Uso sottocutaneo: il medicamento viene iniettato con un ago sottile sotto la pelle, nel tessuto adiposo.

⁵ Studio in aperto: studio clinico non in cieco, cioè con persone partecipanti allo studio e medici sperimentatori che sanno quale trattamento viene somministrato.

⁶ Controllo esterno: confronto dei risultati interni con dati di riferimento esterni (dati provenienti da altri studi o da registri).

Motivazione della decisione di omologazione

L'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (ATTRv) è una malattia rara e a progressione rapida che può causare gravi danni ai nervi e morte prematura. Finora erano disponibili solo opzioni terapeutiche limitate.

Con il suo principio attivo eplontersen, Wainzua risponde all'esigenza di un trattamento efficace per i pazienti con polineuropatia associata ad ATTRv. I dati di studi clinici hanno dimostrato che Wainzua può rallentare significativamente la progressione della

malattia. Gli effetti collaterali più comuni, come la riduzione dei livelli di vitamina A, sono controllabili.

Tenendo conto di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Wainzua superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera il medicamento Wainzua contenente il principio attivo eplontersen.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [informazione professionale di Wainzua®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo): [informazione destinata alle/ai pazienti di Wainzua®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.