

Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de eplonersén (Wainzua®) para el tratamiento amiloidosis hereditaria por transtiretina (ATTRh) en pacientes adultos con polineuropatía en estadio 1 o estadio 2.

Fecha de publicación: 26 de septiembre de 2025

¿Qué es eplonersén y para qué se utiliza?

Eplonersén es un medicamento que se utiliza para tratar a adultos con daño a los nervios en todo el cuerpo (polineuropatía) causado por amiloidosis hereditaria por transtiretina (ATTRv). En las personas con ATTRv, la proteína transtiretina (TTR) es defectuosa y se descompone fácilmente. Esto hace que se aglomere y forme los llamados depósitos amiloides, que pueden acumularse alrededor o dentro de los nervios y en otras partes del cuerpo e impedir que funcionen con normalidad. Se utiliza en adultos en las dos primeras etapas del daño nervioso (etapa 1, cuando el paciente puede caminar sin ayuda, y etapa 2, cuando el paciente todavía puede caminar, pero necesita ayuda).

El medicamento se administra una vez al mes mediante una inyección subcutánea en el abdomen, la parte superior del muslo o la parte superior del brazo, con una pluma precargada. Los pacientes pueden inyectarse el medicamento ellos mismos o por sus cuidadores, pero la primera inyección debe administrarse bajo la supervisión de un profesional de la salud. Los pacientes deben tomar suplementos de vitamina A durante el tratamiento con eplonersén.

¿Cómo funciona eplonersén?

En pacientes con amiloidosis ATTRv, una proteína llamada transtiretina (TTR), que circula en la sangre, es defectuosa y se descompone con facilidad. Esta proteína descompuesta forma depósitos de amiloide en tejidos y órganos de todo el cuerpo, incluyendo alrededor de los nervios, donde interfiere con sus funciones normales.

El principio activo de Wainzua®, el eplonersén, es un oligonucleótido antisentido, un fragmento corto de material genético sintético diseñado para unirse y bloquear el material genético de la célula responsable de la producción de transtiretina. Esto reduce la producción de transtiretina, lo que reduce la formación de amiloides y alivia los síntomas de la amiloidosis ATTRv.

Información básica sobre la autorización

Wainzua® está autorizado a través del procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida para toda la Unión Europea, concedida el 6 de marzo de 2025 por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA)¹.

Conclusiones de la evaluación comparada de Wainzua®

Wainzua® se investigó en un estudio principal que incluyó a 168 pacientes con amiloidosis ATTRv con daño nervioso en estadio 1 o 2, demostrando que era más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) para retardar el daño nervioso causado por la enfermedad.

¹Puede consultar la información en el siguiente enlace:
<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/wainzua>



Las principales medidas de eficacia fueron la variación en los niveles sanguíneos de transtiretina (TTR) de los pacientes y la evolución del daño nervioso y la calidad de vida (medidos mediante las escalas estándar «mNIS+7» y «Norfolk QoL-DN», respectivamente) tras 65 semanas de tratamiento. Los datos de este estudio se compararon con los del grupo placebo de otro estudio realizado con Tegsedí® (otro medicamento para la amiloidosis con ATTR).

El estudio principal mostró que el nivel sanguíneo de TTR disminuyó aproximadamente un 80 % en los pacientes tratados con Wainzua® y un 10 % en los pacientes que recibieron placebo. La puntuación utilizada para evaluar el daño nervioso empeoró en menor medida con Wainzua® (alrededor de 3 puntos) que con placebo (alrededor de 26 puntos). La calidad de vida mejoró en aproximadamente 6 puntos en los pacientes tratados con Wainzua®, en comparación con un empeoramiento de aproximadamente 14 puntos en los pacientes que recibieron placebo.

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha publicado el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Wainzua®². Eplontersén se considera una opción de tratamiento más, que se suma al resto de opciones existentes entre las que se encuentran inotersén, patisirán y vutrisirán. Tafamidis es solo un comparador para los pacientes con PN en estadio 1. Eplontersén (al igual que vutrisirán) presenta como ventaja la conveniencia de administración subcutánea, la menor frecuencia de administración, y el hecho de que no se necesita premedicación previa, aspectos relevantes que podrían afectar a la calidad de vida de los pacientes y cuidadores.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 19 de junio de 2025, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS de este medicamento y su financiación para el tratamiento de la amiloidosis hereditaria por transtiretina (ATTRv) en pacientes adultos con polineuropatía en estadio 1 o estadio 2.

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

Su financiación se limita a la población descrita en el apartado anterior.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

<https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do>

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado “Más información” aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.

²Puede consultar la información en el siguiente enlace:

<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2025/IPT-387-wainzua-eplontersen.pdf>