



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/521473/2018
EMA/H/C/004699

Onpattro (*patisiran*)

Общ преглед на Onpattro и защо е разрешен за употреба в ЕС

Какво представлява Onpattro и за какво се използва?

Onpattro е лекарство, което се използва за лечение на нервно увреждане, причинено от наследствена транстиретин-свързана амилоидоза (hATTR амилоидоза) — заболяване, при което абнормни протеини, наречени амилоиди, се натрупват в тъканите на организма, включително около нервите.

Onpattro се използва при възрастни пациенти в първите два стадия на нервното увреждане (стадий 1, когато пациентът може да ходи без помощ, и стадий 2, когато пациентът все още може да ходи, но има нужда от помощ).

hATTR амилоидоза се счита за рядко заболяване и Onpattro е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 15 април 2011 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите тук: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Onpattro съдържа активното вещество патисиран (*patisiran*).

Как се използва Onpattro?

Onpattro се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на пациенти с амилоидоза.

Лекарството се предлага под формата на разтвор за инфузия (вливане) във вена. Препоръчителната доза е 300 микрограма на килограм телесно тегло веднъж на всеки 3 седмици.

За да се намали рискът от реакции, свързани с инфузията, на пациентите трябва да се дават кортикостероидни лекарства, парацетамол и лекарства, известни като H1 и H2 блокери, преди прилагане на Onpattro. Пациентите трябва също да приемат допълнително витамин А по време на лечението с Onpattro.

Onpattro може да се прилага у дома от медицински специалист, ако пациентът е понесъл поне 3 инфузии в болница без проблеми. За повече информация относно употребата на Onpattro вижте листовката или се свържете с Вашия лекар или фармацевт.



Как действа Onpattro?

При пациенти с hATTR амилоидоза определен протеин, наречен транстиретин, който циркулира в кръвта, е дефектен и лесно се разлага. Разложеният протеин образува амилоидни отлагания в тъканите и органите в тялото, включително около нервните, като пречи на нормалните им функции.

Активното вещество в Onpattro, патисиран, е „малка интерферираща РНК“, много къс отрязък от синтетичен генетичен материал, предназначен да се свързва и да блокира генетичния материал на клетката, отговорна за производството на транстиретин. Това намалява производството на дефектен транстиретин, като по този начин намалява образуването на амилоиди и облекчава симптомите на hATTR амилоидоза.

Какви ползи от Onpattro са установени в проучванията?

В едно основно проучване при 225 пациенти с hATTR амилоидоза в стадий 1 или 2 на нервно увреждане се установява, че Onpattro е по-ефективен от плацебо (сляпо лечение) за забавяне на нервното увреждане, причинено от заболяването.

Основната мярка за ефективност е промяната на нервното увреждане на пациента, измерена с помощта на стандартна скала, наречена „mNIS+7“, с оценки от 0 до 304 (по-висока оценка показва по-тежко нервно увреждане). След 18-месечно лечение оценката по mNIS+7 намалява средно с 6 точки при Onpattro (от около 81 до 75 точки), което показва леко подобрене на състоянието на пациента. Това е сравнено с увеличение от средно 28 точки при плацебо (от около 75 до около 101 точки), което показва, че нервното увреждане се влошава при тези пациенти.

Какви са рисковете, свързани с Onpattro?

Най-честите нежелани реакции при Onpattro (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са периферен оток (подуване, особено на глезените и краката) и реакции, свързани с инфузията, включително болка, гадене (позиви за повръщане), главоболие, умора, замаяност, кашлица и проблеми с дишането, зачервяване на кожата, ускорен пулс, ниско или високо кръвно налягане и подуване на лицето.

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията, съобщени при Onpattro, вижте листовката.

Защо Onpattro е разрешен за употреба в ЕС?

Доказано е, че Onpattro е ефективен за забавяне на нервното увреждане при пациенти с hATTR амилоидоза в стадий 1 или стадий 2 на нервно увреждане. Наличните данни не са достатъчни, за да се предположи благоприятен ефект при пациенти в стадий 3 (пациенти в инвалидна количка). По отношение на безопасността най-сериозните нежелани реакции са реакции, свързани с инфузията, и те могат да бъдат овладени с премедикация и промяна на скоростта на инфузията.

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Onpattro са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Onpattro?

Фирмата, която предлага Onpattro, ще предостави образователни материали на лекарите и пациентите с информация за безопасното прилагане на лекарството у дома и как да се овладеят нежеланите реакции.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Onpattro, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени и в кратката характеристика на продукта, и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Onpattro непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Onpattro, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Onpattro

Допълнителна информация за Onpattro можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.