



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Onpattro (*patisiranum*)

Přehled pro přípravek Onpattro a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Onpattro a k čemu se používá?

Onpattro je léčivý přípravek, který se používá k léčbě poškození nervů v důsledku hereditární transthyretinové (hATTR) amyloidózy, což je onemocnění, při němž se v tkáních v těle, a to i v okolí nervů, hromadí abnormální bílkoviny zvané amyloidy.

Přípravek Onpattro se používá u dospělých pacientů v prvních dvou stádiích poškození nervů (1. stadium, kdy je pacient schopen bez pomoci chodit, a 2. stadium, kdy pacient stále ještě dokáže chodit, ale pouze s pomocí).

Transthyretinová amyloidóza je vzácné onemocnění a přípravek Onpattro byl stanoven dne 15. dubna 2011 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Více informací o postupu stanovení léčivých přípravků pro vzácná onemocnění naleznete zde: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare%20disease%20designation).

Přípravek Onpattro obsahuje léčivou látku patisiran.

Jak se přípravek Onpattro používá?

Výdej přípravku Onpattro je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s amyloidózou.

Přípravek Onpattro je dostupný ve formě infuzního roztoku (kapání) do žíly. Doporučená dávka je 300 mikrogramů na kilogram tělesné hmotnosti a podává se jednou za tři týdny.

Před podáním přípravku Onpattro by měly být pacientům kvůli zmírnění rizika reakcí spojených s podáním infuze podány kortikosteroidy, paracetamol a léčivé přípravky známé jako H1 a H2 blokátory. Pacienti by měli během léčby přípravkem Onpattro rovněž užívat doplněk vitamínu A.

Pokud proběhlo u pacienta podání alespoň 3 infuzí v nemocnici bez potíží, může přípravek Onpattro podávat zdravotnický pracovník v domácím prostředí. Více informací o používání přípravku Onpattro naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Onpattro působí?

U pacientů s transthyretinovou amyloidózou je bílkovina zvaná transthyretin, která obíhá v krvi, defektní (nestabilní) a snadno se štěpí. Fragmenty bílkoviny vytvářejí depozity amyloidu v tkáních a orgánech v různých částech těla, a to i v okolí nervů, kde ovlivňují jejich normální funkce.

Léčivá látka v přípravku Onpattro, patisiran, je „malá interferující RNA“ (siRNA), což je velmi krátký úsek uměle vytvořeného genetického materiálu, který byl vytvořen tak, aby se navázal na genetický materiál buňky odpovědné za produkci transthyretinu a blokoval jej. To vede ke snížení produkce defektního transthyretinu, čímž se sníží i tvorba amyloidů a dojde ke zmírnění příznaků transthyretinové amyloidózy.

Jaké přínosy přípravku Onpattro byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Onpattro byl zkoumán v jedné hlavní studii zahrnující 225 pacientů s transthyretinovou amyloidózou v 1. a 2. stadiu poškození nervů. Při porovnání s placebem (neúčinným přípravkem) se přípravek Onpattro ukázal být při zpomalování poškození nervů v důsledku onemocnění účinnější.

Hlavním měřítkem účinnosti byla změna poškození nervů u pacientů měřená s použitím standardní stupnice zvané „mNIS+7“ se skóre v rozmezí od 0 do 304 (vyšší skóre znamená závažnější poškození nervů). Po 18 měsících léčby se skóre mNIS+7 v souvislosti s přípravkem Onpattro snížilo v průměru o 6 bodů (z přibližně 81 na přibližně 75 bodů), což naznačovalo mírné zlepšení onemocnění pacientů. Tato hodnota byla porovnáována s nárůstem v průměru o 28 bodů pozorovaným u placebo (z přibližně 75 na přibližně 101 bodů), což naznačuje, že poškození nervů se u těchto pacientů zhoršilo.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Onpattro?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Onpattro (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou periferní edém (otok, zejména kotníků a nohou) a reakce spojené s podáním infuze včetně bolesti, nauzey (pocit nevolnosti), bolesti hlavy, únavy, závratě, kašle a dýchacích potíží, zčervenání kůže, rychlého srdečního tepu, nízkého nebo vysokého krevního tlaku a otoku obličeje.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Onpattro je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Onpattro registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Onpattro je účinný při zpomalování poškození nervů u pacientů s transthyretinovou amyloidózou s poškozením nervů 1. nebo 2. stadia. Dostupné údaje nebyly dostatečné k předpokladu příznivého účinku přípravku u pacientů s poškozením 3. stadia (osoby připoutané na invalidní vozík). Pokud jde o bezpečnost, nejzávažnějšími nežádoucími účinky jsou reakce spojené s podáním infuze, které lze zvládnout pomocí premedikace a změnou rychlosti podání infuze.

Evropská agentura pro léčivé přípravky tedy rozhodla, že přínosy přípravku Onpattro převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Onpattro?

Společnost, která přípravek Onpattro dodává na trh, poskytne lékařům a pacientům vzdělávací materiály, které budou obsahovat informace o tom, jak léčivý přípravek bezpečně užívat v domácím prostředí a jak léčit nežádoucí účinky.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Onpattro, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Onpattro průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Onpattro jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Onpattro

Další informace k přípravku Onpattro jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).