



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Onpattro (*patisiran*)

En oversigt over Onpattro, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Onpattro, og hvad anvendes det til?

Onpattro er et lægemiddel til behandling af beskadigelse af nerverne som følge af den arvelige sygdom transthyretin-amyloidose (hATTR-amyloidose), hvor et protein kaldet amyloid ophobes i vævene rundt om i kroppen, herunder rundt om nerverne.

Onpattro anvendes hos voksne patienter, der har nervebeskadigelse af grad 1 (patienten kan gå uden hjælp) og grad 2 (patienten kan stadig gå, men har brug for hjælp).

hATTR-amyloidose er sjælden, og Onpattro blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 15. april 2011. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Onpattro indeholder det aktive stof patisiran.

Hvordan anvendes Onpattro?

Onpattro udleveres kun på recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med amyloidose.

Onpattro fås som en væske til infusion (drop) i en vene. Den anbefalede dosis er 300 mikrogram/kg legemsvægt, der indgives 1 gang hver 3. uge.

For at reducere risikoen for infusionsrelaterede reaktioner bør patienterne have kortikosteroider, paracetamol og såkaldte H1- og H2-blokkere, inden de får Onpattro. Patienterne bør også tage tilskud af A-vitamin under behandling med Onpattro.

Onpattro kan indgives hjemme af en sundhedsperson, hvis patienten har fået mindst 3 infusioner på hospitalet uden problemer. For mere information om brug af Onpattro, se indlægssedlen eller kontakt lægen eller apotekpersonalet.

Hvordan virker Onpattro?

Hos patienter med hATTR-amyloidose er proteinet transthyretin, der cirkulerer rundt i blodet, defekt og nedbrydes hurtigt. Det ødelagte protein danner amyloid, som deponeres i væv og organer rundt om i kroppen, herunder også rundt om nerverne, hvor det forstyrrer deres normale funktion.



Det aktive stof i Onpattro, patisiran, er såkaldt "small interfering RNA" (siRNA), som er et meget kort stykke genetisk materiale, der er designet til at binde til og blokere det genetiske materiale for den celle, der danner transthyretin. Dermed reduceres dannelsen af defekt transthyretin, hvilket reducerer dannelsen af amyloider og lindrer symptomerne på HATTR-amyloidose.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Onpattro?

I et hovedstudie, der omfattede 225 hATTR-patienter med grad 1- eller grad 2-nervebeskadigelse, blev det påvist, at Onpattro er mere effektivt end placebo (et ikke-aktivt stof) til at bremse den nervebeskadigelse, som sygdommen medfører.

Det primære mål for virkning var ændringen i patienternes nervebeskadigelse i henhold til den såkaldte mNIS+7-standardskala med scorer fra 0-304 (jo højere score, desto sværere nervebeskadigelse). Efter 18 måneders behandling faldt mNIS+7-scoren i gennemsnit med 6 point ved brug af Onpattro (fra ca. 81 til ca. 75 point), svarende til en let bedring i patienternes tilstand. Dette skal sammenholdes med en stigning med i gennemsnit 28 point ved brug af placebo (fra ca. 75 til ca. 101 point), svarende til en forværring af nervebeskadigelsen hos disse patienter.

Hvilke risici er der forbundet med Onpattro?

De hyppigste bivirkninger ved Onpattro (der kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 patienter) er perifert ødem (hævelse, navnlig i ankler og fødder) og infusionsrelaterede reaktioner, herunder smerter, kvalme, hovedpine, træthed, svimmelhed, hoste og vejrtrækningsproblemer, hudrødme, hurtigt hjerterytme, lavt eller højt blodtryk og hævelse i ansigtet.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Onpattro fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Onpattro godkendt i EU?

Det er påvist, at Onpattro er effektivt til at bremse nervebeskadigelsen hos hATTR-amyloidose-patienter med nervebeskadigelse af grad 1 eller grad 2. De tilgængelige data var ikke tilstrækkelige til at fastslå en gavnlig virkning hos patienter med grad 3-nervebeskadigelse (dem, som er nødt til at bruge kørestol). Hvad angår sikkerheden, er de alvorligste bivirkninger infusionsrelaterede reaktioner, og de kan håndteres ved præmedicinering og justering af infusionshastigheden.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Onpattro opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Onpattro?

Den virksomhed, der markedsfører Onpattro, skal sørge for informationsmateriale til læger og patienter med oplysning om, hvordan lægemidlet indgives sikkert i hjemmet, og om, hvordan bivirkninger håndteres.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Onpattro.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brug af Onpattro løbende overvåget. Bivirkninger indberettet for Onpattro vurderes omhyggeligt, og der tages de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Onpattro

Yderligere information om Onpattro findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).