



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Onpattro (*patisirán*)

Información general sobre Onpattro y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Onpattro y para qué se utiliza?

Onpattro es un medicamento que se utiliza para tratar una lesión de los nervios provocada por la amiloidosis hereditaria por transtiretina (ATTRh), una enfermedad en la que se acumulan unas proteínas denominadas amiloides en los tejidos de todo el organismo, en particular alrededor de los nervios.

Onpattro se utiliza en pacientes adultos en los dos primeros estadios de la lesión nerviosa (estadio 1, en el que el paciente es capaz de caminar sin ayuda, y estadio 2, en el que el paciente aún puede caminar, pero con ayuda).

La amiloidosis ATTRh es una enfermedad «rara», y Onpattro ha sido designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 15 de abril de 2011. Puede encontrar información adicional sobre la designación como medicamento huérfano en: .

Onpattro contiene el principio activo patisirán.

### ¿Cómo se usa Onpattro?

Onpattro solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe ser iniciado y supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con amiloidosis.

El medicamento se presenta en solución para perfusión intravenosa (goteo en una vena). La dosis recomendada es de 300 microgramos por kilogramo de peso corporal una vez cada 3 semanas.

Para reducir el riesgo de reacciones relacionadas con la perfusión, los pacientes deben recibir corticosteroides, paracetamol y unos medicamentos conocidos como antagonistas de H1 y H2 antes de recibir Onpattro. Además, los pacientes deben tomar suplementos de vitamina A durante el tratamiento con Onpattro.

Onpattro puede ser administrado en casa por un profesional sanitario si el paciente ha recibido al menos 3 perfusiones en el hospital sin problemas. Para mayor información sobre el uso de Onpattro, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.



## ¿Cómo actúa Onpattro?

En los pacientes con amiloidosis ATTRh, la proteína transtiretina, que circula en la sangre, es defectuosa y se descompone con facilidad. Al descomponerse, forma depósitos de amiloide en los tejidos y órganos de todo el cuerpo, así como alrededor de los nervios, e interfiere en su normal funcionamiento.

El principio activo de Onpattro, el patisirán, es un «ARN de interferencia pequeño (siRNA)», un fragmento muy corto de material genético sintético que se ha diseñado para unirse al material genético de la célula responsable de producir la transtiretina y bloquearlo. Esto disminuye la producción de transtiretina defectuosa, con lo que se reduce la formación de amiloide y se alivian los síntomas de la amiloidosis ATTRh.

## ¿Qué beneficios ha demostrado tener Onpattro en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 225 pacientes con amiloidosis ATTRh y afectación nerviosa en estadio 1 o 2, se demostró que Onpattro era más eficaz que un placebo (un tratamiento ficticio) para frenar la lesión nerviosa provocada por la enfermedad.

El criterio principal de valoración de la eficacia fue la variación de la lesión nerviosa de los pacientes, medida con una escala normalizada denominada «mNIS+7», con puntuaciones comprendidas entre 0 y 304 (una puntuación más alta indica una lesión nerviosa más grave). Después de 18 meses de tratamiento, la puntuación mNIS+7 disminuyó por término medio 6 puntos con Onpattro (de unos 81 a unos 75 puntos), lo que indica una ligera mejoría del estado de los pacientes. En comparación, se observó un aumento medio de 28 puntos con el placebo (de unos 75 a unos 101 puntos), lo que indica que la lesión nerviosa había empeorado en estos pacientes.

## ¿Cuál es el riesgo asociado a Onpattro?

Los efectos adversos más frecuentes de Onpattro (pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas) son edema periférico (hinchazón, especialmente de los pies y los tobillos) y reacciones relacionadas con la perfusión, incluidos dolor, náuseas (ganas de vomitar), dolor de cabeza, cansancio, mareo, tos y problemas respiratorios, enrojecimiento de la piel, latidos cardíacos rápidos, presión arterial alta o baja e hinchazón de la cara.

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Onpattro se puede consultar en el prospecto.

## ¿Por qué se ha autorizado Onpattro en la UE?

Onpattro demostró ser eficaz para frenar la lesión nerviosa en pacientes con amiloidosis ATTRh con lesión nerviosa en estadio 1 o 2; los datos disponibles no eran suficientes para presuponer un efecto beneficioso para los pacientes en estadio 3 (confinados a una silla de ruedas). En cuanto a la seguridad, los efectos adversos más graves son las reacciones relacionadas con la perfusión, que pueden controlarse con premedicación y modificaciones de la velocidad de perfusión.

Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Onpattro son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Onpattro?**

La compañía que comercializa Onpattro proporcionará materiales educativos a médicos y pacientes con información sobre el modo de administrar el medicamento de forma segura en casa y el modo de controlar los efectos adversos.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Onpattro se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Onpattro se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Onpattro se evalúan cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## **Otra información sobre Onpattro**

Puede encontrar información adicional sobre Onpattro en la página web de la Agencia: .