



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Onpattro (patisiraan)

Ülevaade ravimist Onpattro ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Onpattro ja milleks seda kasutatakse?

Onpattro on ravim, mida kasutatakse transtüretiiniga seotud pärilikust (hATTR) amüloidoosist tingitud närvikahjustuse raviks. hATTR-amüloidoos on haigus, mille korral ladestuvad kogu organismi kudedesse, sealhulgas närvide ümber teatud ebanormaalsed valgud, amüloidid.

Onpattrot kasutatakse täiskasvanud patsientidel, kellel närvikahjustus on esimeses või teises staadiumis (1. staadium: patsient suudab abita kõndida; 2. staadium: patsient suudab kõndida, kuid vajab abi).

hATTR-amüloidoos esineb harva ja Onpattro nimetati 15. aprillil 2011 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Onpattro sisaldab toimeainena patisiraani.

Kuidas Onpattrot kasutatakse?

Onpattro on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima amüloidoosiga patsientide ravis kogunud arst.

Ravimit turustatakse veeniinfusioonilahusena. Soovitav annus on 300 mikrogrammi kehakaalu kilogrammi kohta üks kord iga 3 nädala järel.

Infusioonireaktsioonide riski vähendamiseks tuleb patsientidele enne Onpattro andmist manustada kortikosteroide, paratsetamooli ning H1- ja H2-blokaatoreid (teatud ravimid). Onpattro-ravi ajal peavad patsiendid võtma lisaks A-vitamiini.

Kui patsiendil ei ole vähemalt 3 infusioonil haiglas tekkinud probleeme, tohib tervishoiutöötaja manustada Onpattrot patsiendile kodus. Lisateavet Onpattro kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.



Kuidas Onpattro toimib?

hATTR-amüloidoosiga patsientidel on veres ringlev valk transtüretiin defektne ja laguneb kergesti. Lagunenud valgust tekivad amüloidiladestused kudedesse ja elunditesse kogu organismis, sealhulgas närvide ümber, kus see häirib normaalset närvitalitlust.

Onpattro toimeaine patisiraan on väike interfereeriv RNA (siRNA) – väga lühike sünteetiline geneetiline materjal, mis seondub transtüretiini tootva raku geneetilise materjaliga ja blokeerib selle. See vähendab defektse transtüretiini tootmist, vähendades omakorda amüloidide teket ja leevendades hATTR-amüloidoosi sümptomeid.

Milles seisneb uuringute põhjal Onpattro kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 225 hATTR-amüloidoosiga patsienti, kellel oli 1. või 2. staadiumi närvikahjustus, oli Onpattro haigusest tingitud närvikahjustuse aeglustamisel efektiivsem kui platseebo (näiv ravim).

Efektiivsuse põhinäitaja oli patsientide närvikahjustuse muutus. Seda muutust mõõdeti standardskaalal mNIS+7, mille skooriskaala oli vahemikus 0–304 (suurem skoor tähendab raskemat närvikahjustust). 18 ravikuu järel olid mNIS+7-skoorid Onpattroga vähenenud keskmiselt 6 punkti võrra (ligikaudu 81-lt ligikaudu 75-le), mis viitab patsientide seisundi mõningasele paranemisele. Platseebot kasutanud patsientide skoorid suurenesid keskmiselt 28 punkti võrra (ligikaudu 75-lt ligikaudu 101-le), mis viitab närvikahjustuse süvenemisele nendel patsientidel.

Mis riskid Onpattroga kaasnevad?

Onpattro kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on perifeerne ödeem (turse, eriti pahkludel ja jalalabadel) ning infusioonireaktsioonid, sh valu, iiveldus, peavalu, väsimus, peapööritus, köha ja hingamisprobleemid, nahapunetus, südame löögisageduse kiirenemine, madal või kõrge vererõhk ja näoturse.

Onpattro kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

ELis Onpattrole väljastatud müügiloa põhjendus

On tõendatud, et Onpattro oli efektiivne 1. või 2. staadiumi närvikahjustusega hATTR-amüloidoosiga patsientide närvikahjustuse aeglustamisel, kuid kättesaadavatest andmetest ei piisanud kasuliku toime tõendamiseks 3. staadiumi närvikahjustusega (ratastoolis) patsientidel. Seoses ohutusega on kõige raskemad kõrvalnähud infusioonireaktsioonid, mida on võimalik hallata premedikatsiooniga ja infusioonikiiruse muutmisega.

Euroopa Ravimiamet otsustas, et Onpattro kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Onpattro ohutu ja efektiivne kasutamine?

Onpattro turustaja tagab arstidele ja patsientidele teabematerjalid, milles kirjeldatakse, kuidas manustada ravimit ohutult kodus ning kuidas hallata kõrvalnähte.

Onpattro ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Onpattro kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Onpattro kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Onpattro kohta

Lisateave Onpattro kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports.