



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Onpattro (*patisiran*)

Pregled informacija o lijeku Onpattro i zašto je odobren u EU-u

### Što je Onpattro i za što se koristi?

Onpattro je lijek koji se primjenjuje za liječenje oštećenja živaca koja su uzrokovana nasljednom transtiretinskom amiloidozom (hATTR), bolešću pri kojoj se abnormalni proteini naziva amiloidi nakupljaju u tkivima tijela, uključujući i oko živaca.

Onpattro se primjenjuje u odraslih bolesnika u prvim dvama stadijima oštećenja živaca (1. stadij, kada bolesnik može hodati bez pomoći i 2. stadij, kada bolesnik može hodati, ali mu je potrebna pomoć).

Budući da je hATTR amiloidoza rijetka bolest, lijek Onpattro dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 15. travnja 2011. Više informacija o statusu lijeka za rijetke bolesti možete naći ovdje: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Onpattro sadrži djelatnu tvar patisiran.

### Kako se Onpattro koristi?

Onpattro se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s hATTR amiloidozom.

Lijek je dostupan kao otopina za infuziju (drip) u venu. Preporučena doza iznosi 300 mikrograma po kilogramu tjelesne težine jednom svaka 3 tjedna.

Radi smanjivanja rizika od reakcija povezanih s infuzijom, prije nego što prime lijek Onpattro bolesnicima se trebaju davati kortikosteroidni lijekovi, paracetamol i lijekovi poznati kao H1 i H2 blokatori. Bolesnici također trebaju uzimati nadomjeske vitamina A tijekom liječenja lijekom Onpattro.

Zdravstveni radnik može dati lijek Onpattro kod kuće ako je bolesnik primio barem 3 infuzije u bolnici bez problema. Za više informacija o primjeni lijeka Onpattro pogledajte uputu o lijeku ili se obratite liječniku ili ljekarniku.

### Kako djeluje Onpattro?

U bolesnika s hATTR amiloidozom protein naziva transtiretin koji cirkulira u krvi oštećen je i lako se raspada. Raspadnuti protein stvara nakupine amiloida u tkivu i organima u tijelu, uključujući i oko živaca, i ometa njihove normalne funkcije.



Djelatna tvar u lijeku Onpattro, patisiran, mala je interferirajuća ribonukleinska kiselina (siRNA), vrlo kratak sintetički genski materijal koji je namijenjen za vezivanje na genski materijal stanica koje stvaraju transtiretin i za njegovo blokiranje. To dovodi do smanjenog stvaranja oštećenog transtiretina, čime se smanjuje nastajanje amiloida i ublažavaju simptomi hATTR amiloidoze.

## **Koje su koristi od lijeka Onpattro utvrđene u ispitivanjima?**

U jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 225 bolesnika s hATTR amiloidozom koji su imali 1. stadij ili 2. stadij oštećenja živaca lijek Onpattro pokazao se djelotvornijim od placeba (prividno liječenje) u usporevanju oštećenja živaca koja ta bolest uzrokuje.

Glavna mjera učinkovitosti bila je promjena u oštećenju živaca bolesnika, izmjerena korištenjem standardne ljestvice pod nazivom „mNIS+7“, s rezultatima u rasponu od 0 do 304 (veći rezultat ukazuje na teže oštećenje živaca). Nakon 18 mjeseci liječenja rezultat mNIS+7 u prosjeku je smanjen za 6 bodova uz primjenu lijeka Onpattro (s oko 81 na oko 75 bodova), što upućuje na blago poboljšanje stanja bolesnika. Za usporedbu, prilikom primjene placeba zabilježeno je prosječno povećanje od 28 bodova (s oko 75 na oko 101 bod), što upućuje na to da je u tih bolesnika došlo do pogoršanja oštećenja živaca.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Onpattro?**

Najčešće nuspojave povezane s lijekom Onpattro (mogu se javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu periferni edem (oticanje, osobito gležnjeva i stopala) i reakcije povezane s infuzijom, uključujući bol, mučninu, glavobolju, umor, vrtoglavicu, kašalj i probleme s disanjem, crvenilo kože, brz rad srca, nizak ili visok krvni tlak i oticanje lica.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja pri primjeni lijeka Onpattro potražite u uputi o lijeku.

## **Zašto je lijek Onpattro odobren u EU-u?**

Lijek Onpattro pokazao se djelotvornim u usporevanju oštećenja živaca u bolesnika s hATTR amiloidozom koji imaju 1. stadij ili 2. stadij oštećenja živaca; dostupni podatci nisu bili dostatni da bi se pretpostavio povoljan učinak u bolesnika u 3. stadiju (koji su vezani za invalidska kolica). Kad je riječ o sigurnosti, najteže su nuspojave reakcije povezane s infuzijom, kojima se može upravljati premedikacijom i promjenama u brzini infuzije.

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi lijeka Onpattro nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u Europskoj uniji.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Onpattro?**

Tvrtka koja stavlja lijek Onpattro na tržište osigurat će edukacijski materijal za liječnike i bolesnike, koji će sadržavati informacije o sigurnoj primjeni lijeka kod kuće i upravljanju nuspojavama.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Onpattro nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Onpattro kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Onpattro pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

## Ostale informacije o lijeku Onpattro

Više informacija o lijeku Onpattro možete naći na internetskim stranicama Agencije:  
[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).