



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Onpattro (*patisziran*)

Az Onpattro nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer az Onpattro és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Onpattro-t az örökletes transztiretin amiloidózis (hATTR) által okozott idegkárosodás kezelésére alkalmazzák. Ennél a betegségnél amiloidoknak nevezett rendellenes fehérjék halmozódnak fel a test különféle szöveteiben, többek között az idegek körül is.

Az Onpattro-t felnőtt betegeknél, az idegkárosodás első két stádiumában alkalmazzák (az 1. stádiumban a beteg képes segítség nélkül járni, a 2. stádiumban a beteg még tud járni, de ehhez segítségre van szüksége).

Mivel a hATTR amiloidózis „ritkának” minősül, ezért az Onpattro-t 2011. április 15-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Az Onpattro hatóanyaga a patisziran.

Hogyan kell alkalmazni az Onpattro-t?

Az Onpattro csak receptre kapható, és a kezelést az amiloidózisban szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A gyógyszer vénába adandó oldatos infúzió formájában kerül forgalomba. Az ajánlott adag 300 mikrogramm testsúlykilogrammonként háromhetente egyszer alkalmazva.

Az Onpattro beadása előtt, az infúzióval kapcsolatos reakciók kockázatának csökkentése céljából, a betegeknek kortikoszteroid gyógyszereket, paracetamolt, valamint H1- és H2-blokkolóként ismert gyógyszereket kell adni. Az Onpattro-kezelés során a betegnek A-vitamin-kiegészítőt is kell szedniük.



Amennyiben a beteg a kórházban legalább 3 infúziót kapott problémamentesen, az Onpattro-t egy egészségügyi szakember otthon is beadhatja. További információért az Onpattro alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót, vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását az Onpattro?

A hATTR amiloidózisban szenvedő betegeknél a vérben keringő transztiretin nevű fehérje hibás, és könnyen törik. A törött fehérje a szervezetben amiloid-lerakódásokat képez a szövetekben és a szervekben, többek között az idegek körül is, és akadályozza azok normál működését.

Az Onpattro hatóanyaga, a patisziran, egy „kis interferáló RNS” (siRNS), azaz egy nagyon rövid szintetikus genetikai anyag, amelyet arra terveztek, hogy a transztiretin termeléséért felelős sejt genetikai anyagához kötődjön, és azt blokkolja. Ez csökkenti a hibás transztiretin termelését, ezáltal csökkentve az amiloidok képződését, és enyhítve a hATTR amiloidózis tüneteit.

Milyen előnyei voltak az Onpattro alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 225, hATTR amiloidózisban szenvedő, 1. vagy 2. stádiumú idegkárosodással élő betegre kiterjedő fő vizsgálatban kimutatták, hogy az Onpattro a betegség okozta idegkárosodás lassításában hatékonyabb, mint a placebo (hatóanyag nélküli kezelés).

A fő hatékonysági mutató a betegek idegkárosodásában bekövetkezett változás volt, amelyet az „mNIS+7” standard skálával mértek, melynek pontszáma 0-tól 304-ig terjed (a magasabb pontszám súlyosabb idegkárosodást jelez). 18 havi kezelés után a mNIS+7 pontszám az Onpattro alkalmazása esetén átlagosan 6 ponttal csökkent (mintegy 81-ről megközelítőleg 75 pontra), ami enyhe javulást jelez a betegek állapotában. Ezzel szemben a placebo alkalmazása esetén átlagosan 28 pont volt a növekedés (mintegy 75-ről megközelítőleg 101 pontra), ami azt jelzi, hogy ezeknél a betegeknél súlyosbodott az idegkárosodás.

Milyen kockázatokkal jár az Onpattro alkalmazása?

Az Onpattro leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a perifériás ödéma (duzzanat, különösen a boka és a láb területén), infúzióval összefüggő reakciók, beleértve a fájdalmat, hányingert (émelygés), fejfájást, fáradtságot, szédülést, köhögést és légzési problémákat, bőrpírt, szapora szívverést, alacsony vagy magas vérnyomást és az arc duzzanatát.

Az Onpattro alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Onpattro forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Onpattro-ról kimutatták, hogy hatékonyan lassítja az idegkárosodást az 1. vagy 2. stádiumú idegkárosodással rendelkező, hATTR amiloidózisban szenvedő betegek esetében; a rendelkezésre álló adatok nem voltak elegendőek ahhoz, hogy feltételezzék jótékony hatását a 3. stádiumú (kerekesszékre kényszerült) betegek esetében. Ami a biztonságosságot illeti, a legsúlyosabb mellékhatások az infúzióval kapcsolatos reakciók, és ezek premedikációval, illetve az infúzió sebességének megváltoztatásával kezelhetők.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Onpattro alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalomba hozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Onpattro biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Onpattro-t forgalmazó vállalat oktatóanyagot fog biztosítani az orvosok és betegek rendelkezésére, amelyben tájékoztatás nyújt arról, hogyan kell biztonságosan beadni a gyógyszert otthon, és hogyan kell kezelni a mellékhatásokat.

Az Onpattro biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Onpattro alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. Az Onpattro alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Onpattro-val kapcsolatos egyéb információ

További információ az Onpattro gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).