



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Onpattro (*patisiranas*)

Onpattro apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Onpattro ir kam jis vartojamas?

Onpattro – tai vaistas, kuriuo gydomi nervų pažeidimai, kuriuos sukelia paveldėtoji transtiretino amiloidozė (pTA) – liga, kuria sergant nenormalūs baltymai, vadinami amiloidais, kaupiasi viso kūno audiniuose, įskaitant apie nervus esančius audinius.

Onpattro skiriamas suaugusiems pacientams esant pirmoms dviem nervų pažeidimo stadijoms (1 stadija – kai pacientas gali vaikščioti be pagalbinių priemonių ir 2 stadija – kai pacientas vis dar gali paeiti, bet jam reikalinga pagalba).

pTA laikoma reta liga, todėl 2011 m. balandžio 15 d. Onpattro buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Onpattro sudėtyje yra veikliosios medžiagos patisirano.

Kaip vartoti Onpattro?

Onpattro galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turėtų pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis amiloidoze sergančių pacientų gydymo patirties.

Šis vaistas tiekiamas infuzinio (į veną lašinamo) tirpalo forma. Rekomenduojama dozė – 300 µg/kg kūno svorio, lašinama į veną vieną kartą kas tris savaites.

Siekiant sumažinti su infuzijomis susijusių reakcijų pavojų, prieš sulašinant Onpattro, pacientams reikėtų skirti kortikosteroidų, paracetamolio ir vaistų, kurie yra H1 ir H2 blokatoriai. Gydymo Onpattro laikotarpiu pacientai taip pat turėtų vartoti vitamino A papildus.

Sveikatos priežiūros specialistas gali sulašinti Onpattro pacientui į veną namuose, jeigu ligoninėje buvo atliktos bent 3 infuzijos ir dėl to nekilo jokių problemų. Daugiau informacijos apie Onpattro vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.



Kaip veikia Onpattro?

pTA sergančių pacientų kraujyje cirkuliuojantis baltymas, vadinamas transtiretinu, yra pakitęs ir lengvai skyla. Suskilus šiam baltymui, visame kūne audiniuose ir organuose, įskaitant apie nervus esančius audinius, nusėda amiloidai, kurie sutrikdo normalią jų veiklą.

Veiklioji Onpattro medžiaga patisirasanas yra vadinamoji mažoji interferuojanti RNR – labai trumpa sintetinės genetinės medžiagos dalis, kuri sumodeliuota taip, kad jungtųsi prie ląstelės, kuri yra atsakinga už transtiretino gamybą, genetinės medžiagos ir ją slopintų. Dėl tokio poveikio žmogaus organizme pagaminama mažiau pakitusio transtiretino, todėl susidaro mažiau amiloidų ir palengvėja pTA simptomai.

Kokia Onpattro nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 225 pTA sergantys pacientai, kuriems buvo diagnozuotas 1 arba 2 stadijos nervų pažeidimas, nustatyta, kad Onpattro yra veiksmingesnis už placebą (netikrą vaistą) siekiant pristabdyti šios ligos sukeliama nervų pažeidimo progresavimą.

Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų nervų pažeidimo pokytis, vertinamas pagal standartinę skalę, vadinamą mNIS+7, kurioje balų suma svyruoja nuo 0 iki 304 (didesnė balų suma reiškia sunkesnę nervų pažeidimą). Per 18 gydymo mėnesių vartojant Onpattro vertinimo pagal mNIS+7 balų suma sumažėjo vidutiniškai 6 balais (nuo maždaug 81 iki maždaug 75 balų); tai rodo, kad pacientų būklė šiek tiek pagerėjo. Vartojant placebą vertinimo balų suma padidėjo 28 balais (nuo maždaug 75 iki maždaug 101 balo); tai rodo, kad šių pacientų nervų pažeidimas pasunkėjo.

Kokia rizika susijusi su Onpattro vartojimu?

Dažniausias Onpattro šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra periferinė edema (patinimas, ypač kulkšnių ir pėdų) ir su infuzijomis susijusios reakcijos, įskaitant skausmą, pykinimą (šleikštulį), galvos skausmą, nuovargį, galvos svaigimą, kosulį ir kvėpavimo problemas, odos paraudimą, pagreitetą širdies plakimą, sumažėjusį arba padidėjusį kraujospūdį ir veido patinimą.

Išsamų visų Onpattro šalutinio poveikio reiškinių ir jo vartojimo apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Onpattro buvo registruotas ES?

Tyrimais įrodyta, kad Onpattro yra veiksmingas siekiant pristabdyti pTA sukeliama nervų pažeidimo progresavimą esant 1 arba 2 stadijos nervų pažeidimams; turimų duomenų nepakako, kad būtų galima padaryti prielaidą, jog šis vaistas būtų naudingas 3 stadijos nervų pažeidimų turintiems pacientams (prikaustytiems prie neįgaliojo vežimėlio). Dėl Onpattro saugumo, sunkiausi šalutinio poveikio reiškiniai yra su infuzijomis susijusios reakcijos, kurias galima kontroliuoti taikant premedikaciją ir keičiant infuzijos greitį.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Onpattro nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Onpattro vartojimą?

Onpattro prekiaujanti bendrovė parengs gydytojams ir pacientams skirtą mokomąją medžiagą, kurioje bus pateikta informacija apie tai, kaip vaistą saugiai sulašinti į veną namuose ir kaip kontroliuoti šalutinį poveikį.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Onpattro vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Onpattro vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Onpattro šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Onpattro

Daugiau informacijos apie Onpattro rasite Agentūros tinklalapyje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).