



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Onpattro (*patisiran*)

Ħarsa ġenerali lejn Onpattro u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Onpattro u għal xiex jintuża?

Onpattro huwa medicina li tintuża biex tikkura l-ħsara fin-nervituri kkawżata minn amiljojdosi transtiretin ereditarja (hATTR), marda li fiha l-proteini anormali msejġha amiljojdi jingemgħu fit-tessuti ta' madwar il-ġisem inkluż madwar in-nervituri.

Onpattro jintuża f'pazjenti adulti fl-ewwel żewġ stadji tal-ħsara fin-nervituri (stadju 1, meta l-pazjent ikun jista' jimxi mingħajr għajnuna, u stadju 2, meta l-pazjent ikun għadu jista' jimxi iżda jeħtieġ l-għajnuna).

Amiljojdosi hATTR hija rari, u Onpattro ġie denominat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fil-15 ta' April 2011. Aktar informazzjoni fuq id-denominazzjoni orfni tista' tinstab hawn: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Onpattro fih is-sustanza attiva patisiran.

### Kif jintuża Onpattro?

Onpattro jista' jinkiseb biss b'ricetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tiġi sorveljata minn tabib b'esperjenza fil-kura ta' pazjenti b'amiljojdosi.

Il-medicina tiġi bħala soluzzjoni għall-infużjoni (dripp) ġo vina. Id-doża rakkomandata hija ta' 300 mikrogramma għal kull kilogramma ta' piż tal-ġisem, darba kull tliet ġimgħat.

Sabiex jitnaqqas ir-riskju ta' reazzjonijiet relatati mal-infużjoni, il-pazjenti għandhom jingħataw medicini kortikosteroidi, paracetamol u medicini magħrufa bħala imblokkaturi H1 u H2 qabel ma jingħataw Onpattro. Il-pazjenti għandhom jieħdu wkoll supplimenti tal-vitamina A matul il-kura b'Onpattro.

Onpattro jista' jingħata d-dar minn professjonista fil-qasam tal-kura tas-saħħa jekk il-pazjent ikun ingħata mill-inqas 3 infużjonijiet fi sptar mingħajr problemi. Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Onpattro, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.



## **Kif jaħdem Onpattro?**

F'pazjenti b'amilojdosi hATTR, proteina msejha transtiretin li tiċċirkola fid-demm hija difettuża u tinkiser faċilment. Il-proteina mkissra tiffurma depożiti amilojdi f'tessuti u f'organi madwar il-ġisem, inkluż madwar in-nervituri, fejn tinterferixxi mal-funzjonijiet normali tagħhom.

Is-sustanza attiva f'Onpattro, il-patisiran, hija "RNA żgħira li tinterferixxi" (siRNA), biċċa qasira ħafna ta' materjal ġenetiku sintetiku li giet imfassla biex tehel ma' u timblokka l-materjal ġenetiku taċ-ċellola responsabbli għall-produzzjoni ta' transtiretin. Dan inaqqas il-produzzjoni ta' transtiretin difettuż, u b'hekk inaqqas il-formazzjoni ta' amilojdi u jtaffi s-sintomi tal-amilojdosi hATTR.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Onpattro li ħarġu mill-istudji?**

Fi studju ewlieni wieħed li involva 225 pazjent b'amilojdosi hATTR bi ħsara fin-nervituri fl-istadju 1 jew 2, Onpattro ntwerha li kien iktar effettiv minn placebo (kura finta) biex idewwem il-ħsara fin-nervituri kkawżata mill-marda.

Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-ħsara fin-nervituri tal-pazjenti, kif imkejjet permezz ta' skala standard imsejha "mNIS+7", b'punteġġi li jvarjaw minn 0 sa 304 (punteġġ ogħla jindika ħsara aktar serja fin-nervituri). Wara 18-il xahar ta' kura, il-punteġġ mNIS+7 naqas b'ħala medja b'6 punti b'Onpattro (minn madwar 81 punt għal madwar 75), li jindika titjib żgħir fil-kondizzjoni tal-pazjenti. B'ħala medja, dan jikkumpara ma' zieda bi 28 punt bi placebo (minn madwar 75 punt għal madwar 101), li jindika li l-ħsara fin-nervituri marret għall-agħar f'dawn il-pazjenti.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Onpattro?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Onpattro (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma edema periferali (nefha, speċjalment tal-għekiesi u tas-saqajn) u reazzjonijiet relatati mal-infużjoni inklużi uġiġħ, nawsja (tħossok ma tiflaħx), uġiġħ ta' ras, għeja, sturdament, sogħla u problemi bit-teħid tan-nifs, ħmura tal-ġilda, taħbita mgħaġġla tal-qalb, pressjoni tad-demm għolja jew baxxa u nefha fil-wiċċ.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Onpattro, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex Onpattro ġie awtorizzat fl-UE?**

Onpattro ntwerha li huwa effettiv biex idewwem il-ħsara fin-nervituri f'pazjenti b'amilojdosi hATTR bi ħsara fin-nervituri fl-istadju 1 jew fl-istadju 2; id-data disponibbli ma kinitx biżżejjed biex wieħed jassumi effett ta' benefiċċju fil-pazjenti fl-istadju 3 (dawk li qegħdin f'siġġu tar-roti). Fir-rigward tas-sigurtà, l-effetti sekondarji l-aktar serji huma reazzjonijiet relatati mal-infużjoni u dawn jistgħu jiġu ġestiti bi premedikazzjoni u tibdil fil-veloċità tal-infużjoni.

Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Onpattro huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Onpattro?**

Il-kumpanija li tqiegħed Onpattro fis-suq ser tipprovdi materjal edukattiv għat-tobba u għall-pazjenti b'informazzjoni dwar kif il-medicina għandha tingħata b'mod sikur fid-dar u kif għandhom jiġu ġestiti l-effetti sekondarji.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Onpattro.

Bħal għall-medicini kollha, id-data dwar l-użu ta' Onpattro hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Onpattro huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

## **Informazzjoni oħra dwar Onpattro**

Aktar informazzjoni dwar Onpattro tinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).