



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Onpattro (*patisiran*)

Um resumo sobre Onpattro e porque está autorizado na UE

### O que é Onpattro e para que é utilizado?

Onpattro é um medicamento utilizado no tratamento de lesões nos nervos causadas pela amiloidose hereditária mediada por transtirretina (ATTRh), uma doença na qual as proteínas anormais designadas amiloides se acumulam em tecidos no organismo, incluindo em torno dos nervos.

Onpattro é utilizado em doentes adultos nos primeiros dois estádios das lesões nos nervos (estádio 1, quando o doente consegue caminhar sem ajuda, e estágio 2, quando o doente ainda consegue caminhar, mas necessita de ajuda).

A amiloidose ATTRh é uma doença rara, e Onpattro foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 15 de abril de 2011. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Onpattro contém a substância ativa patisiran.

### Como se utiliza Onpattro?

Onpattro só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com amiloidose.

O medicamento está disponível na forma de solução para perfusão (administração gota a gota) numa veia. A dose recomendada é de 300 microgramas por quilograma de peso corporal, uma vez a cada 3 semanas.

Para reduzir o risco de reações relacionadas com a perfusão, os doentes devem receber medicamentos corticosteroides, paracetamol e medicamentos denominados bloqueadores H1 e H2 antes da administração de Onpattro. Os doentes devem igualmente tomar suplementos de vitamina A durante o tratamento com Onpattro.

Onpattro pode ser administrado em casa por um profissional de saúde se o doente tiver recebido, pelo menos, 3 perfusões no hospital sem problemas. Para mais informações sobre a utilização de Onpattro, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.



## Como funciona Onpattro?

Em doentes com amiloidose ATTRh, uma proteína chamada transtirretina que circula no sangue apresenta defeitos e decompõe-se facilmente. A proteína decomposta forma depósitos amiloides nos tecidos e órgãos do corpo, incluindo em torno dos nervos, onde interfere com as suas funções normais.

A substância ativa de Onpattro, o patisiran, é um «pequeno ARN de interferência» (siRNA), um fragmento muito pequeno de material genético sintético que foi concebido para se ligar e bloquear o material genético da célula responsável por produzir a transtirretina. Esta ação reduz a produção de transtirretina defeituosa, reduzindo assim a formação de amiloides e aliviando os sintomas da amiloidose ATTRh.

## Quais os benefícios demonstrados por Onpattro durante os estudos?

Num estudo principal que incluiu 225 doentes com amiloidose ATTRh com lesões nos nervos de estágio 1 ou 2, Onpattro demonstrou ser mais eficaz do que o placebo (um tratamento simulado) no abrandamento das lesões nos nervos causadas pela doença.

O principal parâmetro de eficácia foi a alteração nas lesões nos nervos dos doentes, conforme medidas utilizando uma escala padrão denominada «mNIS+7», com as pontuações a variar entre 0 e 304 (uma pontuação mais elevada indica lesões nos nervos mais graves). Após 18 meses de tratamento, a pontuação da mNIS+7 diminuiu em média 6 pontos com Onpattro (de cerca de 81 para cerca de 75 pontos), indicando uma ligeira melhoria da condição dos doentes. Isto em comparação com um aumento em média de 28 pontos com o placebo (de cerca de 75 para cerca de 101 pontos), indicando um agravamento das lesões nos nervos nestes doentes.

## Quais são os riscos associados a Onpattro?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Onpattro (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são edema periférico (inchaço, especialmente dos tornozelos e dos pés) e reações relacionadas com a perfusão, incluindo dor, náuseas (sensação de enjoo), dor de cabeça, cansaço, tonturas, tosse e problemas respiratórios, vermelhidão da pele, batimento cardíaco acelerado, pressão sanguínea baixa ou alta e inchaço da cara.

Para a lista completa das restrições de utilização e dos efeitos secundários comunicados relativamente a Onpattro, consulte o Folheto Informativo.

## Porque está Onpattro autorizado na UE?

Onpattro demonstrou ser eficaz no abrandamento das lesões nos nervos de doentes com amiloidose ATTRh com lesões nos nervos de estágio 1 ou estágio 2; os dados disponíveis não foram suficientes para assumir um efeito benéfico em doentes no estágio 3 (os doentes confinados a uma cadeira de rodas). Relativamente à segurança, os efeitos secundários mais graves são reações relacionadas com a perfusão e estes podem ser controlados com medicação prévia e alterações na velocidade de perfusão.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Onpattro são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Onpattro?**

A empresa que comercializa Onpattro irá fornecer materiais educacionais aos médicos e aos doentes com informações sobre como administrar o medicamento em casa com segurança e como controlar os efeitos secundários.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Onpattro.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Onpattro são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Onpattro são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

## **Outras informações sobre Onpattro**

Mais informações sobre Onpattro podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:  
[ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).