



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Onpattro (*patisiran*)

O prezentare generală a Onpattro și de ce este autorizat acest medicament în UE

### Ce este Onpattro și pentru ce se utilizează?

Onpattro este un medicament utilizat pentru tratamentul vătămării nervilor provocate de amiloidoza ereditară cu transtiretină (hATTR), o boală în care proteine anormale denumite amiloizi se acumulează în țesuturile organismului, inclusiv în jurul nervilor.

Onpattro se utilizează la pacienți adulți în primele două stadii ale vătămării nervilor (stadiul 1, când pacientul poate merge fără ajutor, și stadiul 2, când pacientul încă poate să meargă, dar are nevoie de ajutor).

Amiloidoza hATTR este rară, iar Onpattro a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 15 aprilie 2011. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite aici: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Onpattro conține substanța activă patisiran.

### Cum se utilizează Onpattro?

Onpattro se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul pacienților cu amiloidoză.

Medicamentul este disponibil sub formă de soluție pentru perfuzie intravenoasă (picurare în venă). Doza recomandată este de 300 micrograme/kilogram greutate corporală o dată la 3 săptămâni.

Pentru a reduce riscul de apariție a reacțiilor asociate administrării în perfuzie, înainte de a li se administra Onpattro, pacienții trebuie să primească medicamente denumite corticosteroizi, paracetamol și medicamente cunoscute sub numele de blocante ale H<sub>1</sub> și H<sub>2</sub>. De asemenea, în timpul tratamentului cu Onpattro, pacienții trebuie să ia suplimente de vitamina A.

Onpattro poate fi administrat la domiciliu de către un specialist din domeniul sănătății în cazul în care pacientului i s-au administrat în perfuzie, în spital, cel puțin 3 doze, fără a se înregistra probleme. Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Onpattro, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



## Cum acționează Onpattro?

La pacienții cu amiloidoză hATTR, o proteină denumită transtiretină care este prezentă în sânge este anormală și se descompune cu ușurință. Proteina astfel descompusă se acumulează în depozite de amiloid în țesuturi și organe din organism, inclusiv în jurul nervilor, influențând funcțiile normale ale acestora.

Substanța activă din componența Onpattro, patisiranul, este un „ARN interferent mic” (siARN), o bucată foarte scurtă de material genetic sintetic care a fost conceput să se lege de materialul genetic al celulei cu rol în producția de transtiretină și să-l blocheze. Acest lucru reduce producția de transtiretină anormală, reducând astfel formarea depozitelor de amiloid și diminuând simptomele asociate amiloidozei hATTR.

## Ce beneficii a prezentat Onpattro pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal care a cuprins 225 de pacienți cu amiloidoză hATTR cu vătămare nervoasă în stadiul 1 sau 2, s-a demonstrat că Onpattro este mai eficient decât placebo (un preparat inactiv) în ceea ce privește diminuarea vătămării nervilor provocate de boală.

Principalul parametru de evaluare a eficacității a fost modificarea vătămării nervoase a pacienților, măsurată conform unei scale standard denumite „mNIS+7”, cu scoruri cuprinse între 0 și 304 (un scor mai mare indică un grad mai sever de vătămare nervoasă). După 18 luni de tratament, s-a înregistrat o reducere medie cu 6 puncte a scorului mNIS+7 în asociere cu Onpattro (de la aproximativ 81, la aproximativ 75 de puncte), indicând o ușoară îmbunătățire a stării pacienților. Dimpotrivă, cu placebo s-a înregistrat o creștere medie cu 28 de puncte (de la aproximativ 75, la aproximativ 101 puncte), indicând faptul că vătămarea nervilor s-a agravat la acești pacienți.

## Care sunt riscurile asociate cu Onpattro?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Onpattro (care pot afecta mai mult de o persoană din 10) sunt edemul periferic (umflare, mai ales la nivelul gleznelor și picioarelor) și reacții asociate administrării în perfuzie, inclusiv durere, senzație de greață (stare de rău), dureri de cap, oboseală, amețeală, tuse și probleme de respirație, înroșirea pielii, bătăi accelerate ale inimii, scăderea sau creșterea valorilor tensiunii arteriale și umflarea feței.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor raportate asociate cu Onpattro, citiți prospectul.

## De ce a fost autorizat Onpattro în UE?

S-a demonstrat că Onpattro este eficient în ceea ce privește încetinirea avansării vătămării nervilor la pacienții cu amiloidoză hATTR cu afectare nervoasă în stadiul 1 sau 2; datele disponibile au fost insuficiente pentru a stabili un efect benefic la pacienții cu stadiul 3 (cei imobilizați într-un scaun cu rotile). În ceea ce privește siguranța, cele mai grave reacții adverse sunt reacțiile asociate administrării în perfuzie, care pot fi gestionate prin utilizarea de premedicație și modificarea vitezei administrării perfuziei.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Onpattro sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

## **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Onpattro?**

Compania care comercializează Onpattro va furniza materiale de instruire pentru medici și pacienți care vor include informații privind modul în care se administrează în siguranță medicamentul la domiciliu și modul de gestionare a reacțiilor adverse.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Onpattro, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Onpattro sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Onpattro sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

## **Alte informații despre Onpattro**

Informații suplimentare cu privire la Onpattro sunt disponibile pe site-ul Agenției: [ema.europa.eu/Find/medicines/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicines/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).