



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Onpattro (*patisíran*)

Prehľad o lieku Onpattro a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Onpattro a na čo sa používa?

Liek Onpattro sa používa na liečbu poškodenia nervov spôsobeného dedičnou transtyreťínovou amyloidózou (hATTR), ochorením, pri ktorom sa abnormálne proteíny nazývané amyloidy hromadia v tkanivách tela vrátane tkanív obklopujúcich nervy.

Liek Onpattro sa používa u dospelých pacientov v prvých dvoch štádiách poškodenia nervov (1. štádium, keď je pacient schopný chodiť bez pomoci, a 2. štádium, keď pacient môže ešte chodiť, ale potrebuje pomoc).

Ochorenie hATTR amyloidóza je zriedkavé, a preto bol liek Onpattro dňa 15. apríla 2011 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia („orphan medicine“). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Liek Onpattro obsahuje liečivo patisíran.

Ako sa liek Onpattro používa?

Výdaj lieku Onpattro je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s amyloidózou.

Liek je dostupný vo forme infúzneho roztoku (na kvapkanie) do žily. Odporúčaná dávka je 300 mikrogramov na kilogram telesnej hmotnosti podávaná raz za tri týždne.

Pred podaním lieku Onpattro sa majú pacientom podať lieky obsahujúce kortikosteroidy, paracetamol a lieky známe ako blokátory H1 a H2, s cieľom znížiť riziko reakcií súvisiacich s infúziou. Pacienti majú počas liečby liekom Onpattro užívať aj výživové doplnky obsahujúce vitamín A.

Ak pacient dostal v nemocnici aspoň tri infúzie a nevyskytli sa žiadne problémy, liek Onpattro môže zdravotnícky pracovník podávať v domácom prostredí. Viac informácií o používaní lieku Onpattro si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.



Akým spôsobom liek Onpattro účinkuje?

U pacientov s hATTR amyloidózou je proteín nazývaný transtyretrín, ktorý cirkuluje v krvi, chybný a ľahko sa rozkladá. Rozložený proteín vytvára depozity amyloidov v tkanivách a orgánoch tela vrátane tkanív obklopujúcich nervy, kde narušuje ich normálne funkcie.

Liečivo lieku Onpattro, patisíran, je tzv. malá interferujúca RNA (siRNA), čiže veľmi krátky úsek syntetického genetického materiálu, ktorý bol navrhnutý tak, aby sa naviazal na genetický materiál bunky zodpovednej za tvorbu transtyretrínu a zablokoval ho. Tým sa zníži produkcia chybného transtyretrínu, čo vedie k zníženému vytváraniu amyloidov a zmierneniu príznakov hATTR amyloidózy.

Aké prínosy lieku Onpattro boli preukázané v štúdiách?

V jednej hlavnej štúdii zahŕňajúcej 225 pacientov s hATTR amyloidózou s poškodením nervov v 1. alebo 2. štádiu sa preukázalo, že liek Onpattro je účinnejší ako placebo (zdanlivý liek) pri spomaľovaní poškodenia nervov spôsobeného ochorením.

Hlavným meradlom účinnosti bola zmena v poškodení nervov pacientov na základe štandardnej stupnice nazývanej mNIS+7 so skóre v rozsahu od 0 do 304 (vyššie skóre znamená závažnejšie poškodenie nervov). Po 18 mesiacoch liečby liekom Onpattro sa skóre mNIS+7 znížilo priemerne o 6 bodov (z približne 81 na približne 75 bodov), z čoho vyplýva mierne zlepšenie stavu pacientov, v porovnaní so zvýšením priemerne o 28 bodov pri použití placeba (z približne 75 na približne 101 bodov), z čoho vyplýva, že poškodenie nervov sa u týchto pacientov zhoršilo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Onpattro?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Onpattro (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú periférny edém (opuch, najmä členkov a chodidiel) a reakcie súvisiace s infúziou vrátane bolesti, nauzea (pocit nevoľnosti), bolesť hlavy, únava, závrat, kašeľ a problémy s dýchaním, začervenanie kože, rýchly srdcový pulz, nízky alebo vysoký krvný tlak a opuch tváre.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Onpattro a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Onpattro povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Onpattro je účinný pri spomaľovaní poškodenia nervov u pacientov s hATTR amyloidózou s poškodením nervov v 1. alebo 2. štádiu. Dostupné údaje neboli dostatočné na predpokladanie prínosu u pacientov s ochorením v 3. štádiu (pacienti pripútaní na invalidný vozík). Pokiaľ ide o bezpečnosť, najzávažnejšie vedľajšie účinky sú reakcie súvisiace s infúziou, ktoré možno zvládnuť premedikáciou a zmenou rýchlosti infúzie.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Onpattro sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Onpattro?

Spoločnosť, ktorá liek Onpattro uvádza na trh, poskytne lekárom a pacientom vzdelávacie materiály obsahujúce informácie o bezpečnom podávaní lieku v domácom prostredí a o kontrole vedľajších účinkov.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Onpattro boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Onpattro sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Onpattro sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Onpattro

Ďalšie informácie o lieku Onpattro sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).