



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Onpattro (*patisiran*)

Pregled zdravila Onpattro in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Onpattro in za kaj se uporablja?

Zdravilo Onpattro se uporablja za zdravljenje poškodbe živcev, ki jo povzroča dedna transtiretinska amiloidoza, tj. bolezen, pri kateri se beljakovine, imenovane amiloidi, kopičijo v tkivih po telesu, tudi okoli živcev.

Zdravilo Onpattro se uporablja pri odraslih bolnikih pri prvih dveh stopnjah poškodbe živcev (pri 1. stopnji, pri kateri bolnik lahko hodi brez pomoči, in 2. stopnji, pri kateri bolnik še lahko hodi, vendar potrebuje pomoč).

Dedna transtiretinska amiloidoza je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Onpattro 6. aprila 2011 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Zdravilo Onpattro vsebuje učinkovino patisiran.

Kako se zdravilo Onpattro uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Onpattro je le na recept, zdravljenje pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z amiloidozo.

Zdravilo je na voljo v obliki raztopine za infundiranje (kapalne infuzije) v veno. Priporočeni odmerek je 300 mikrogramov na kilogram telesne mase enkrat na tri tedne.

Preden bolniki prejmejo zdravilo Onpattro, morajo za zmanjšanje tveganja za reakcije, povezane z infuzijo, prejeti kortikosteroide, paracetamol in zdravila, znana kot zaviralci H1 in H2. Bolniki morajo med zdravljenjem z zdravilom Onpattro jemati tudi dodatke vitamina A.

Zdravilo Onpattro lahko zdravstveni delavec daje v domačem okolju, če je bolnik pred tem prejel vsaj tri infuzije v bolnišnici in ni imel težav. Za več informacij glede uporabe zdravila Onpattro glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.



Kako zdravilo Onpattro deluje?

Pri bolnikih z dedno transtiretinsko amiloidozo je beljakovina transtiretin v krvnem obtoku okvarjena in se hitro razgradi. Razgrajena beljakovina tvori amiloidne skupke v tkivih in organih po vsem telesu, tudi okoli živcev, v katerih moti njihovo normalno delovanje.

Učinkovina zdravila Onpattro, patisiran, je „majhna interferenčna RNK“, tj. zelo kratek košček umetnega genetskega materiala, ki je bil zasnovan tako, da se pritrdi na genetski material celice, odgovorne za tvorbo transtiretina, in ga zavira. Tako se zmanjša tvorba transtiretina, kar zmanjša nastajanje amiloidov in olajša simptome dedne transtiretinske amiloidoze.

Kakšne koristi zdravila Onpattro so se pokazale v študijah?

V eni glavni študiji, ki je vključevala 225 bolnikov z dedno transtiretinsko amiloidozo s 1. ali 2. stopnjo poškodbe živcev, so dokazali, da je zdravilo Onpattro pri upočasnitvi poškodbe živcev, ki jo povzroča bolezen, učinkovitejše od placeba (zdravila brez učinkovine).

Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba poškodbe živcev pri bolnikih, izmerjena s standardno lestvico, imenovano „mNIS+7“, pri čemer je rezultat v razponu od 0 do 304 (višji rezultat pomeni hujšo poškodbo živcev). Po 18 mesecih zdravljenja se je rezultat mNIS+7 pri zdravilu Onpattro povprečno znižal za 6 točk (s približno 81 točk na približno 75 točk), kar kaže na majhno izboljšanje stanja bolnikov. Pri placebu je prišlo do zvišanja rezultata za približno 28 točk (s približno 75 točk na približno 101 točko), kar kaže, da se je poškodba živcev pri teh bolnikih poslabšala.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Onpattro?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Onpattro (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 bolniku od 10) so periferni edem (otekanje, zlasti gležnjevi in stopali) in reakcije, povezane z infuzijo, vključno z bolečino, navzejo (slabost), glavobol, utrujenost, omotica, kašelj in težave z dihanjem, pordelost kože, hiter srčni utrip, nizek ali visok krvni tlak ter otekanje obraza.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Onpattro glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Onpattro odobreno v EU?

Zdravilo Onpattro se je izkazalo za učinkovito pri zdravljenju 1. ali 2. stopnje poškodbe živcev pri bolnikih z dedno transtiretinsko amiloidozo; razpoložljivi podatki ne zadoščajo za izpeljavo predpostavke o koristih zdravila pri bolnikih s 3. stopnjo poškodbe (ki so na invalidskem vozičku). Kar zadeva varnost, so najresnejši neželeni učinki reakcije, povezane z infuzijo, ki jih je mogoče obvladati s premedikacijo in spremembo hitrosti infundiranja.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Onpattro večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Onpattro?

Podjetje, ki trži zdravilo Onpattro, bo za zdravnike in bolnike pripravilo izobraževalno gradivo z informacijami o tem, kako varno dajati zdravilo v domačem okolju in kako obvladovati neželene učinke.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Onpattro upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Onpattro stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Onpattro, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Onpattro

Nadaljnje informacije o zdravilu Onpattro so na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).