



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Onpattro (*patisiran*)

Sammanfattning av Onpattro och varför det är godkänt inom EU

Vad är Onpattro och vad används det för?

Onpattro är ett läkemedel som används för att behandla nervskador som orsakas av ärftlig transtyretnamyloidos (hATTR-amalyoidos), en sjukdom där avvikande proteiner som kallas amyloider ansamlas i vävnader på olika ställen i kroppen, bland annat runt nerverna.

Onpattro ges till vuxna patienter under de två första stadierna av nervskadan (stadium 1, när patienten kan gå utan stöd, och stadium 2, när patienten fortfarande kan gå men behöver hjälp).

hATTR-amalyoidos är sällsynt och Onpattro klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 15 april 2011. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns här: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Onpattro innehåller den aktiva substansen patisiran.

Hur används Onpattro?

Onpattro är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av behandlingen av patienter med amyloidos.

Läkemedlet finns som infusionsvätska, lösning och ges som dropp i en ven. Rekommenderad dos är 300 mikrogram per kg kroppsvikt, en gång var 3:e vecka.

För att minska risken för infusionsrelaterade reaktioner ska patienterna ges kortikosteroidläkemedel, paracetamol och läkemedel som kallas H1- och H2-blockerare innan de får Onpattro. Patienterna ska också ta tillskott av vitamin A under behandling med Onpattro.

Onpattro kan ges av hälso- och sjukvårdspersonal i patientens hem om patienten fått minst 3 infusioner på sjukhus utan problem. För att få mer information om hur du använder Onpattro, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



Hur verkar Onpattro?

Hos patienter med hATTR-amalyoidos cirkulerar ett defekt protein i blodet som kallas transtyretin och som lätt bryts sönder. Det sönderbrutna proteinet bildar ansamlingar av amyloid i vävnader och organ på olika ställen i kroppen, bland annat runt nerverna, där det stör deras normala funktion.

Den aktiva substansen i Onpattro, patisiran, är en "liten interfererande RNA" (small interfering RNA, siRNA), en mycket kort bit syntetiskt genmaterial som utformats för att fästa vid och blockera det genmaterial i cellen som ansvarar för att producera transtyretin. Detta leder till minskad produktion av defekt transtyretin, vilket minskar bildandet av amyloider och lindrar symtomen på hATTR-amyloidos.

Vilka fördelar med Onpattro har visats i studierna?

I en huvudstudie på 225 patienter med hATTR-amalyoidos som hade nervskada i stadium 1 eller 2 visade sig Onpattro vara effektivare än placebo (en överksam behandling) när det gäller att sakta ner den nervskada som orsakas av sjukdomen.

Det huvudsakliga effektmåttet var förändringen av patienternas nervskada uppmätt genom en standardskala som kallas "mNIS+7", med värden mellan 0 och 304 (högre värden motsvarar en allvarligare nervskada). Efter 18 månaders behandling sjönk mNIS+7-värdet med i genomsnitt 6 poäng med Onpattro (från cirka 81 till cirka 75 poäng), vilket innebär en lätt förbättring av patienternas tillstånd. Detta kan jämföras med en ökning med i genomsnitt 28 poäng med placebo (från cirka 75 till cirka 101 poäng), vilket innebär att nervskadan förvärrades hos dessa patienter.

Vilka är riskerna med Onpattro?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Onpattro (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är perifert ödem (svullnad, särskilt i vristen och fötter) och infusionsrelaterade reaktioner inräknat smärta, illamående, huvudvärk, trötthet, yrsel, hosta och andningsproblem, hudrodnad, snabb hjärtrytm, lågt eller högt blodtryck och svullnad i ansiktet.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Onpattro finns i bipacksedeln.

Varför är Onpattro godkänt i EU?

Onpattro visade sig vara effektivt när det gäller att sakta ner nervskada i stadium 1 eller 2 hos patienter med hATTR-amalyoidos; de tillgängliga uppgifterna räckte inte för antagandet av en gynnsam effekt hos patienter i stadium 3 (de som sitter i rullstol). Vad gäller säkerheten är de allvarligaste biverkningarna infusionsrelaterade reaktioner, vilka kan hanteras med premedicinering och ändrad infusionshastighet.

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann därför att fördelarna med Onpattro är större än riskerna och att Onpattro skulle godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Onpattro?

Företaget som marknadsför Onpattro ska förse läkarna med utbildningsmaterial och patienterna med information om hur läkemedlet ges på ett säkert sätt hemma och hur biverkningar ska hanteras.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Onpattro har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Onpattro kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Onpattro utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder för att skydda patienter vidtas.

Mer information om Onpattro

Mer information om Onpattro finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports.