

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

Onpattro (*patisiraani*)

Yleistiedot Onpattrosta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Onpattro on ja mihin sitä käytetään?

Onpattro on lääke, jolla hoidetaan perinnöllisen transtyretiinivälitteisen amyloidoosin (hATTR) aiheuttamia hermovaurioita. Kyseessä on sairaus, jossa kehon eri kudoksiin, myös hermojen ympärille, kertyy amyloideiksi kutsuttuja epänormaaleja proteiineja.

Onpattroa käytetään aikuispotilailla hermovaurioiden kahden ensimmäisen vaiheen hoidossa (vaiheen 1 potilaat pystyvät kävelemään ilman apua, kun taas vaiheen 2 potilaat voivat yhä kävellä mutta tarvitsevat apua).

Tämäntyyppinen amyloidoosi on harvinainen sairaus, ja Onpattro nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 15. huhtikuuta 2011. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Onpattron vaikuttava aine on patisiraani.

Miten Onpattroa käytetään?

Onpattroa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta amyloidoosin hoitamisesta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa.

Lääkevalmistetta saa infuusioliuoksena (tiputus laskimoon). Suositeltu annos on 300 mikrogrammaa painokiloa kohden joka kolmas viikko.

Infuusioon liittyvien reaktioiden riskin pienentämiseksi potilaille on annettava kortikosteroidilääkkeitä, parasetamolia ja H1- ja H2-salpaajiksi kutsuttuja lääkkeitä ennen Onpattron antamista. Potilaiden on otettava myös A-vitamiinilisää Onpattro-hoidon aikana.

Terveystieteiden alan ammattilainen voi antaa Onpattron potilaalle tämän kotona, jos potilas on saanut vähintään kolme infuusiota sairaalassa eikä ongelmia ole ilmennyt. Lisätietoja Onpattron käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Onpattro vaikuttaa?

Perinnöllistä transtyretiinivälitteistä amyloidoosia sairastavilla potilailla veren transtyretiini-niminen proteiini on viallinen, ja se hajoaa helposti. Hajonnut proteiini muodostaa amyloidikertymiä kudoksiin ja elimiin eri puolille kehoa, myös hermojen ympärille, missä se häiritsee niiden normaalia toimintaa.

Onpattron vaikuttava aine patisiraani on "pieni häiritsevä RNA" (siRNA). Se on hyvin lyhyt pätkä keinoitekoisesti valmistettua geneettistä materiaalia, jonka tarkoituksena on sitoutua transtyretiiniä tuottavan solun geneettiseen materiaaliin ja estää sen toiminta. Tämä vähentää transtyretiinin tuotantoa ja pienentää siten amyloidikertymien muodostumista ja helpottaa transtyretiinivälitteisen amyloidoosin oireita.

Mitä hyötyä Onpattrosta on havaittu tutkimuksissa?

Yhdessä päättökokeessa, johon osallistui 225 hATTR-amyloidoosia sairastavaa potilasta, joilla oli vaiheiden 1 ja 2 hermovaurioita, Onpattron osoitettiin hidastavan sairauden aiheuttamien hermovaurioiden kehittymistä lumelääkettä tehokkaammin.

Tehon päämittana oli potilaiden hermovaurioissa tapahtunut muutos, jota mitattiin mNIS+7-nimisellä vakioasteikolla. Pistealue oli 0–304 (mitä suuremmat pisteet, sitä vakavampi hermovaurio). Kun hoito oli kestänyt 18 kuukautta, Onpattroa saaneiden potilaiden mNIS+7-pisteet olivat vähentyneet keskimäärin kuusi pistettä (noin 81 pisteestä noin 75 pisteeseen), mikä tarkoittaa, että potilaiden tila oli parantunut jonkin verran. Lumelääkettä saaneiden pisteet puolestaan olivat suurentuneet keskimäärin 28 pisteellä (noin 75 pisteestä noin 101 pisteeseen), mikä tarkoittaa, että näiden potilaiden hermovaurio oli pahentunut.

Mitä riskejä Onpattroon liittyy?

Onpattron yleisimmät sivuvaikutukset (joita voi esiintyä useammalla kuin yhdellä kymmenestä potilaasta) ovat perifeerinen edeema (etenkin nilkkojen ja jalkojen turvotus) sekä infuusioon liittyvät reaktiot, kuten kipu, pahoinvointi, päänsärky, väsymys, huimaus, yskä ja hengitysvaikeudet, ihon punoitus, nopea syke, korkea tai matala verenpaine ja kasvojen turpoaminen.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Onpattron ilmoitetuista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Onpattro on hyväksytty EU:ssa?

Onpattro osoittautui tehokkaaksi hATTR-potilaiden vaiheen 1 tai 2 hermovaurioiden hidastamisessa. Saatavilla olevat tiedot eivät kuitenkaan olleet riittävät, jotta olisi voitu tehdä johtopäätös suotuisasta vaikutuksesta vaiheen 3 (pyörätuolissa oleville) potilaille. Turvallisuuden osalta vakavimmat sivuvaikutukset olivat infuusioon liittyviä reaktioita, jotka ovat hallittavissa esilääkityksen avulla ja infuusionopeutta muuttamalla.

Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Onpattron hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että se voidaan hyväksyä käyttöön EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Onpattron turvallinen ja tehokas käyttö?

Onpattroa markkinoiva yhtiö toimittaa lääkäreille ja potilaille perehdytysmateriaalia, joka sisältää tietoa siitä, miten lääke annetaan turvallisesti kotona ja miten sivuvaikutuksia hoidetaan.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Onpattron käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Onpattron käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Onpattrosta ilmoitettuja sivuvaikutuksia arvioidaan huolellisesti ja suoritetaan kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Onpattrosta

Lisää tietoa Onpattrosta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).