



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Onpattro (*patisirāns*)

Onpattro pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Onpattro* un kāpēc tās lieto?

Onpattro ir zāles, ko lieto, lai ārstētu nervu bojājumus, ko izraisa pārmantota transtiretīna (*hATTR*) amiloidoze – slimība, kuras gadījumā par amiloīdiem dēvētas olbaltumvielas uzkrājas organisma audos, tostarp ap nerviem.

Onpattro tiek lietotas pieaugušiem pacientiem ar pirmo divu stadiju nervu bojājumiem (1. stadija, kad pacients spēj staigāt bez palīdzības, un 2. stadija, kad pacients vēl spēj staigāt, bet viņam nepieciešama palīdzība).

hATTR amiloidoze ir “reta”, un 2011. gada 15. aprīlī *Onpattro* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Onpattro satur aktīvo vielu patisirānu.

Kā lieto *Onpattro*?

Onpattro var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi amiloidozes pacientu ārstēšanā.

Šīs zāles ir pieejamas kā infūziju šķīdums (ievadīšanai vēnā pa pilienam). Ieteicamā deva ir 300 mikrogrami uz kilogramu ķermeņa masas reizi 3 nedēļās.

Lai samazinātu ar infūziju saistītu reakciju risku, pirms *Onpattro* ievadīšanas pacientiem jādod kortikosteroīdu zāles, paracetamols un zāles, ko sauc par H1 un H2 blokatoriem. *Onpattro* terapijas laikā pacientiem arī jālieto A vitamīna preparāti.

Ja pacientam slimnīcā bez problēmām ir ievadītas vismaz 3 infūzijas, turpmāk veselības aprūpes speciālists var ievadīt *Onpattro* pacientam mājās. Papildu informāciju par *Onpattro* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.



Kā *Onpattro* darbojas?

Pacientiem ar *hATTR* amiloidozi ir bojāta olbaltumviela, ko dēvē par transtiretīnu un kas cirkulē asinīs un viegli noārdās. Noārdītās olbaltumvielas veido amiloīdu nogulsnes ķermeņa audos un orgānos, tostarp ap nerviem, kur tās traucē normālai to darbībai.

Onpattro aktīvā viela patisīrāns ir "neliela interferējoša RNS" (*siRNS*), ļoti īsa daļiņa no sintētiska ģenētiskā materiāla, kas izstrādāts, lai piesaistītos pie šūnu ģenētiskā materiāla, kas atbild par transtiretīna sintēzi, un to bloķētu. Tas samazina bojātā transtiretīna ražošanu, tādējādi mazinot amiloīdu veidošanos un atvieglojot *hATTR* amiloidozes simptomus.

Kādi *Onpattro* ieguvumi atklāti pētījumos?

Vienā pamatpētījumā, piedaloties 225 *hATTR* amiloidozes pacientiem ar 1. vai 2. stadijas nervu bojājumiem, pierādīja, ka *Onpattro* efektīvāk nekā placebo (zāļu imitācija) palēnina slimības izraisītos nervu bojājumus.

Galvenais efektivitātes rādītājs bija izmaiņas pacienta nervu bojājumos, ko mērīja ar standarta skalu "mNIS+7", kuras diapazons ir no 0 līdz 304 punktiem (jo augstāks punktu skaits, jo smagāki nervu bojājumi). Pēc 18 mēnešus ilgas ārstēšanas ar *Onpattro* mNIS+7 rādītājs samazinājās par vidēji 6 punktiem (no apmēram 81 līdz apmēram 75 punktiem), kas liecina par nelielu pacientu stāvokļa uzlabojumu. Savukārt, lietojot placebo, šis rādītājs bija palielinājies par 28 punktiem (no apmēram 75 līdz apmēram 101 punktiem), kas nozīmē, ka šiem pacientiem nervu bojājumi bija progresējuši.

Kāds risks pastāv, lietojot *Onpattro*?

Visbiežākās *Onpattro* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir perifērā tūska (pietūkums, jo īpaši potīšu un pēdu apvidū) un ar infūziju saistītas reakcijas, tostarp sāpes, slikta dūša (nelabums), galvassāpes, nogurums, reibonis, klepus un apgrūtināta elpošana, ādas apsārtums, strauja sirdsdarbība, paaugstināts vai pazemināts asinsspiediens un sejas tūska.

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Onpattro*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Onpattro* ir reģistrētas ES?

Tika pierādīta *Onpattro* efektivitāte 1. vai 2. stadijas nervu bojājumu palēnināšanā *hATTR* amiloidozes pacientiem. Pieejamie dati nebija pietiekami, lai varētu pieņemt, ka šīs zāles rada labvēlīgu ietekmi pacientiem ar 3. stadijas nervu bojājumiem (kad pacients ir piesaistīts ratiņkrēslam). Drošuma ziņā nopietnākās blakusparādības ir ar infūziju saistītas reakcijas, ko var kontrolēt ar premedikāciju un mainot infūzijas ātrumu.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Onpattro*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Onpattro* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Onpattro*, nodrošinās ārstiem un pacientiem izglītojošus materiālus ar informāciju par to, kā droši lietot šīs zāles mājas apstākļos un kā kontrolēt blakusparādības.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Onpattro* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Onpattro* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Onpattro* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Onpattro*

Sīkāka informācija par *Onpattro* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.