

COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene a Medicamentului (European Medicines Agency = EMA) referitor la recomandarea EMA privind autorizarea pentru punere pe piață a medicamentului Onpattro, medicament nou pentru tratarea amiloidozei cu transtiretină, boală rară cu transmitere ereditară

Comunicat de presă EMA referitor la recomandarea EMA privind autorizarea pentru punere pe piață a medicamentului Onpattro, medicament nou pentru tratarea amiloidozei cu transtiretină, boală rară cu transmitere ereditară

EMA, 27 iulie 2018

Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) recomandă acordarea autorizației de punere pe piața UE a medicamentului Onpattro (patisiran), destinat abordării unei necesități medicale neacoperite de tratare a bolii cu transmitere ereditară cunoscute sub denumirea de amiloidoză cu transtiretină (amiloidoză hATTR) la pacienții cu polineuropatie în stadiul 1 sau stadiul 2 (boală în care apar leziuni ale nervilor periferici). Medicamentul are drept scop modificarea progresiei bolii și îmbunătățirea funcționării și calității vieții pacienților.

Amiloidoza hATTR este o boală rară, cu transmitere ereditară, care pune viața în pericol. Aceasta apare ca o consecință a unor mutații produse la nivelul genei numite transtiretină (TTR), care determină plierea defectuoasă a proteinelor TTR și acumularea acestora sub forma unei substanțe fibroase cunoscute sub numele de amiloid în diferite locuri, inclusiv la nivelul sistemului nervos periferic, al inimii și al tractului gastro-intestinal. Pacienții care suferă de această afecțiune prezintă de obicei probleme cardiace și simptome precum slăbiciune musculară la nivelul membrelor și, în etapele ulterioare, incapacitate de deplasare, probleme care afectează funcționarea normală a stomacului și intestinului (care determină malnutriție) și disfuncții ale vezicii urinare. Amiloidoza hATTR se întâlnește mai frecvent la bărbați decât femei.

Substanța activă din medicamentul Onpattro este patisiran, care conține un mic filament de material genetic sintetic denumit „ARN interferent mic” (siRNA), conceput astfel încât să se atașeze la materialul genetic al celulelor responsabile de producerea proteinei TTR și să blocheze producerea acesteia în ficat. Astfel se reduce producția de TTR, diminuându-se prin urmare și acumularea de amiloid

TTR în țesuturi și frânându-se progresia bolii. Medicamentul Onpattro se administrează prin perfuzie intravenoasă, o dată la trei săptămâni.

Siguranța și eficacitatea medicamentului Onpattro au fost evaluate în cadrul unui studiu pivot la care au participat 225 de pacienți cu amiloidoză hATTR și polineuropatie simptomatică și în care s-au constatat ameliorări relevante clinic în ceea ce privește manifestările neurologice ale bolii și calitatea vieții pacienților, precum și un impact pozitiv asupra parametrilor cardiaci. Eficacitatea tratamentului la pacienții cu polineuropatie în stadiul 3 nu este demonstrată încă. Cele mai frecvente evenimente adverse observate au fost reacții asociate cu perfuzia precum înroșire, dureri de spate, greață, dureri abdominale, dispnee (respirație dificilă) și dureri de cap.

Medicamentul Onpattro este cel de al doilea recomandat spre autorizare pentru tratarea acestei boli, în urma avizului pozitiv formulat pentru medicamentul Tegsedi (inotersen) în luna mai 2018. Cele două medicamente extind considerabil gama actuală de opțiuni pentru tratarea acestei boli, care constau în prezent din transplant de ficat, tratamentul cu tafamidis și utilizarea în afara indicațiilor aprobate (*off label*) a medicamentelor antiinflamatoare nesteroidiene (AINS), toate aceste abordări prezentând limitări considerabile în cazul pacienților cu polineuropatie în stadiile 2 și 3, ceea ce genera o necesitate medicală în mod evident neacoperită. În acest context, CHMP a considerat că medicamentul Onpattro prezintă interes major pentru sănătatea publică și a aprobat cererea de introducere a acestuia în procedura de evaluare accelerată.

Conform procedurii la momentul aprobării, Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products =COMP) își va re-analiza decizia de desemnare a acestui medicament ca orfan, stabilind astfel dacă informațiile de până acum permit menținerea statutului de orfan al medicamentului Onpattro și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru acest medicament.

Opinia adoptată de CHMP privitoare la medicamentul Onpattro constituie o etapă intermediară în procesul de punere a acestuia la dispoziția pacientului. În momentul de față, această opinie urmează trimisă către Comisia Europeană în vederea adoptării unei decizii privind acordarea autorizației de punere pe piață valabile la în întreaga UE. Odată acordată această autorizație, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile privind prețul și rambursarea, pe baza rolului potențial/utilizării medicamentului în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Notă:

Solicitantul de autorizare pentru punerea pe piață a medicamentului Onpattro este compania Alnylam Netherlands B.V.