



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721918/2022  
EMA/H/C/005852

## Amvuttra (*vutrisiran*)

Общ преглед на Amvuttra и основания за разрешаване в ЕС

### Какво представлява Amvuttra и за какво се използва?

Amvuttra е лекарство, което се използва за лечение на полиневропатия (увреждане на нервите), причинена от наследствена транстиретин-свързана (hATTR) амилоидоза — заболяване, при което абнормни протеини, наречени амилоиди, се натрупват в тъканите на организма, включително около нервите.

Amvuttra се използва при възрастни пациенти в първите два етапа на неврологично увреждане (етап 1, когато пациентът има слабост в краката, но е в състояние да ходи без чужда помощ, и етап 2, когато пациентът все още може да ходи, но се нуждае от помощ).

hATTR амилоидоза се счита за рядко заболяване и Amvuttra е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 25 май 2018 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите [тук](#).

Amvuttra съдържа активното вещество вутрисиран (*vutrisiran*).

### Как се използва Amvuttra?

Amvuttra се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на пациенти с амилоидоза. Лечението трябва да започне възможно най-рано след поставяне на диагнозата, за да се избегне по-нататъшно развитие на заболяването.

Лекарството се предлага под формата на инжекция под кожата (подкожно) в корема, бедрото или горната част на ръката. Препоръчителната доза е 25 mg веднъж на всеки 3 месеца. По време на лечението с Amvuttra пациентите трябва да приемат и добавки с витамин А.

При пациенти, чието заболяване прогресира до полиневропатия от стадий 3, лекарят може да продължи лечението, ако ползите превишават рисковете.

За повече информация относно употребата на Amvuttra вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Как действа Amvuttra?

При пациенти с hATTR амилоидоза определен протеин, наречен транстиретин, който циркулира в кръвта, е дефектен и лесно се разпада. Разпадналият се протеин образува амилоидни отлагания в тъканите и органите на организма, включително около нервите, където потиска нормалната функция на органите.

Активното вещество в Amvuttra, вутрисиранин, е „малка интерферираща РНК“ (siRNA), много къс отрязък от синтетичен генетичен материал, предназначен да се свързва с генетичния материал на клетките, отговорни за производството на транстиретин, и да го блокира. Това намалява производството на дефектен транстиретин, като по този начин намалява образуването на амилоиди и облекчава симптомите на hATTR амилоидоза.

## Какви ползи от Amvuttra са установени в проучванията?

В едно основно проучване при 164 пациенти с hATTR амилоидоза с увреждане на нервите в стадий 1 или 2, е показана ефективността на Amvuttra за забавяне на неврологичното увреждане, причинено от заболяването.

Основната мярка за ефективност е промяната в неврологичното увреждане на пациентите, измерена по стандартна скала, наречена mNIS+7, където понижаването на резултата показва подобрене, а повишаването на резултата показва влошаване на невропатичното увреждане. След 18 месеца на лечение резултатът за mNIS+7 намалява средно с около 0,5 точки при Amvuttra. Това е сравнено със средно увеличение от 28 точки, наблюдавано при плацебо (сляпо лечение) в друго проучване, обхващащо 225 пациенти, в което Onpattro (друго лекарство за hATTR амилоидоза) е сравнен с плацебо.

Проучването показва също, че лечението с Amvuttra е поне толкова ефективно, колкото Onpattro за намаляване на нивата на транстиретин.

## Какви са рисковете, свързани с Amvuttra?

Най-честите нежелани реакции при Amvuttra (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са болка в крайниците (ръцете и краката) и артралгия (болка в ставите).

За пълния списък на нежеланите реакции при Amvuttra вижте листовката.

## Защо Amvuttra е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Amvuttra е ефективен за забавяне на неврологичното увреждане при пациенти с hATTR амилоидоза с неврологично увреждане на етап 1 или етап 2. По отношение на безопасността се счита, че нежеланите реакции могат да бъдат овладени.

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Amvuttra са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

## Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Amvuttra?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Amvuttra, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Amvuttra непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Amvuttra, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

### **Допълнителна информация за Amvuttra:**

Допълнителна информация за Amvuttra можете да намерите на уебсайта на Агенцията:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra).