



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721919/2022
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisiranum*)

Přehled pro přípravek Amvuttra a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Amvuttra a k čemu se používá?

Amvuttra je léčivý přípravek, který se používá k léčbě polyneuropatie (poškození nervů) způsobené hereditární (dědičnou) transthyretinovou amyloidózou, což je onemocnění, při kterém se v tkáních v těle, a to i v okolí nervů, hromadí abnormální bílkoviny zvané amyloidy.

Přípravek Amvuttra se používá u dospělých pacientů v prvních dvou stádiích poškození nervů (ve stadiu 1, kdy má pacient oslabené nohy, ale je schopen chodit bez pomoci, a stadiu 2, kdy pacient stále ještě zvládá chodit, ale potřebuje pomoc).

Hereditární transthyretinová amyloidóza je vzácné onemocnění a přípravek Amvuttra byl označen dne 25. května 2018 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“¹. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete [zde](#).

Přípravek Amvuttra obsahuje léčivou látku vutrisiran.

Jak se přípravek Amvuttra používá?

Výdej přípravku Amvuttra je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s amyloidózou. Léčba by měla být zahájena co nejdříve po stanovení diagnózy, aby se zabránilo dalšímu zhoršování onemocnění.

Přípravek je dostupný ve formě podkožní (subkutánní) injekce do břicha, stehna nebo horní části paže. Doporučená dávka je 25 mg jednou za 3 měsíce. V průběhu léčby přípravkem Amvuttra by pacienti měli rovněž užívat doplňky vitamínu A.

U pacientů, jejichž onemocnění se zhorší na polyneuropatii stadia 3, může lékař v léčbě pokračovat za předpokladu, že přínosy převyšují rizika.

Více informací o používání přípravku Amvuttra naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

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

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

An agency of the European Union



Jak přípravek Amvuttra působí?

U pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou je bílkovina zvaná transthyretin, která obíhá v krvi, poškozená (defektní) a snadno se štěpí. Fragменты bílkoviny vytvářejí depozity amyloidu v tkáních a orgánech v různých částech těla, a to i v okolí nervů, kde ovlivňují normální funkce orgánů.

Léčivá látka v přípravku Amvuttra, vutrisiran, je „malá interferující RNA“ (siRNA), což je velmi krátká část syntetického genetického materiálu, která byla navržena tak, aby se navázala na genetický materiál buněk odpovědných za tvorbu transthyretinu a blokovala jej. To vede ke snížení produkce defektního transthyretinu, čímž se sníží i tvorba amyloidů a dojde ke zmírnění příznaků hereditární transthyretinové amyloidózy.

Jaké přínosy přípravku Amvuttra byly prokázány v průběhu studií?

V jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 164 pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou s poškozením nervů ve stadiu 1 nebo 2, bylo prokázáno, že přípravek Amvuttra je účinný při zpomalování poškození nervů v důsledku tohoto onemocnění.

Hlavním měřítkem účinnosti byla změna míry poškození nervů u pacientů měřená s použitím standardní stupnice zvané „mNIS+7“, kde snížení skóre znamená zlepšení a zvýšení skóre zhoršení poškození nervů. Po 18 měsících léčby se skóre mNIS+7 u pacientů léčených přípravkem Amvuttra snížilo v průměru o přibližně 0,5 bodu. Tento výsledek byl srovnáván s výsledky další studie, do které bylo zařazeno 225 pacientů a která porovnávala přípravek Onpattro (jiný léčivý přípravek k léčbě hereditární transthyretinové amyloidózy) s placebem (neúčinným přípravkem). V této studii byl při podávání placeba zaznamenán průměrný nárůst skóre o 28 bodů.

Studie rovněž prokázala, že s ohledem na snižování hladin transthyretinu byla léčba přípravkem Amvuttra přinejmenším stejně účinná jako léčba přípravkem Onpattro.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Amvuttra?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Amvuttra (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou bolest končetin (rukou a nohou) a artralgie (bolest kloubů).

Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Amvuttra je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Amvuttra registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Amvuttra je účinný při zpomalování poškození nervů u pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou s poškozením nervů ve stadiu 1 nebo 2. Co se týče bezpečnosti, nežádoucí účinky jsou považovány za zvladatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Amvuttra převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Amvuttra?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Amvuttra, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Amvuttra průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Amvuttra jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Amvuttra

Další informace o přípravku Amvuttra jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.