



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/160809/2025
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisiran*)

En oversigt over Amvuttra, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Amvuttra, og hvad anvendes det til?

Amvuttra er et lægemiddel til behandling af transthyretin amyloidose (ATTR), en sygdom, hvor abnorme proteiner kaldet amyloider ophober sig i væv rundt om i kroppen, herunder omkring nerverne.

Amvuttra anvendes til voksne, hvis ATTR-amyloidose er arvelig, og som har polyneuropati (nerveskader) i stadie 1 eller 2. Stadie 1 betyder, at patienten har svaghed i benene, men er i stand til at gå uden hjælp. Stadie 2 betyder, at patienten kan gå, men har brug for hjælp.

Amvuttra anvendes desuden hos voksne med arvelig eller ikke-arvelig ATTR-amyloidose, som har kardiomyopati (skade på hjertemusklen).

ATTR-amyloidose er sjælden, og Amvuttra blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 25. maj 2018. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes [her](#).

Amvuttra indeholder det aktive stof vutrisiran.

Hvordan anvendes Amvuttra?

Amvuttra udleveres kun på recept, og behandlingen bør indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af patienter med amyloidose. Behandlingen bør indledes så tidligt som muligt efter diagnosen for at undgå, at sygdommen udvikler sig yderligere.

Lægemidlet fås som fyldte sprøjter og gives én gang hver 3. måned ved indsprøjtning under huden i maven, låret eller overarmen. Patienter og omsorgsgivere kan selv give injektionen efter passende oplæring.

Patienterne bør tage A-vitamintilskud dagligt under behandlingen med Amvuttra.

For patienter, hvis polyneuropati udvikler sig til stadie 3 (når patienten ikke længere kan gå), kan lægen fortsætte behandlingen, hvis fordelene opvejer risiciene.

Der foreligger kun begrænsede data om Amvuttra hos patienter i svære stadier af kardiomyopati (NYHA- klasse IV eller NYHA-klasse III plus NAC- stadie III). Hvis patienterne imidlertid nærmer sig disse stadier, mens de tager Amvuttra, tyder disse data på, at de kan fortsætte behandlingen.

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



Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Amvuttra, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Amvuttra?

Hos patienter med ATTR-amyloidose er proteinet transthyretin, der cirkulerer rundt i blodet, defekt og ødelægges let. Det ødelagte protein danner amyloidaflejringer i væv og organer rundt om i kroppen, herunder også omkring nerver og hjerte, hvor det forstyrrer organernes normale funktion.

Det aktive stof i Amvuttra, vutrisiran, er et lille interfererende RNA (siRNA), et kort stykke genetisk materiale fremstillet i et laboratorium, som bindes til og blokerer det genetiske materiale i de celler, der danner transthyretin. Dermed dannes der mindre defekt transthyretin, hvilket reducerer dannelsen af amyloider og lindrer symptomerne på ATTR-amyloidose.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Amvuttra?

I et første hovedstudie, der omfattede 164 patienter med arvelig ATTR-amyloidose og polyneuropati i stadie 1 eller 2, blev Amvuttra påvist at være effektiv til at forsinke den nerveskade, sygdommen forårsager. I dette studie blev Amvuttra ikke sammenlignet med et andet lægemiddel eller placebo.

Virkningen blev hovedsagelig bedømt på en ændring i patienternes symptomer på nerveskader målt ved hjælp af en standardskala kaldet mNIS + 7, hvor en faldende score er tegn på forbedring, og en højere score tegn på forværring. Efter 18 måneders behandling faldt mNIS+7-scoren i gennemsnit med ca. 0,5 point hos patienter, der fik Amvuttra. Dette blev sammenlignet med en gennemsnitlig stigning på 28 point hos patienter, der fik placebo (en uvirksom behandling) i et andet studie med 225 patienter, hvor Onpattro (et andet arvelig ATTR-amyloidose-lægemiddel) blev sammenlignet med placebo.

Studiet viste desuden, at behandling med Amvuttra var mindst lige så effektiv som Onpattro til at sænke transthyretin-niveauerne.

I et andet hovedstudie, der omfattede 655 patienter med arvelig eller ikke-arvelig ATTR-amyloidose og kardiomyopati, blev Amvuttra påvist at være effektivt til at reducere risikoen for alvorlige kardiovaskulære problemer (der påvirker hjertet og blodcirkulationen) og dødsfald. Studiet så på antallet af patienter, som i en periode på tre år døde, eller hos hme der forekom tilbagevendende kardiovaskulære hændelser, som f.eks. hospitalsindlæggelse eller hjertesvigt, der krævede akut lægehjælp. De patienter, der fik Amvuttra, oplevede en reduktion på ca. 28 % i risikoen for kardiovaskulære problemer og dødsfald sammenlignet med de patienter, der fik placebo (en uvirksom behandling).

Hvilke risici er der forbundet med Amvuttra?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Amvuttra fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Amvuttra (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er reaktioner på injektionsstedet og forhøjet indhold i blodet af alkalisk fosfatase og alaninaminotransferase (leverenzym).

Hvorfor er Amvuttra godkendt i EU?

Amvuttra viste sig at være effektivt til at forsinke nervebeskadigelse hos patienter med arvelig ATTR-amyloidose med polyneuropati i stadie 1 eller stadie 2. Det blev også påvist, at det reducerede risiciene for alvorlige kardiovaskulære problemer og dødsfald hos patienter med arvelig eller ikke-

arvelig ATTR-amyloidose med kardiomyopati. Hvad sikkerheden angår, anses bivirkningerne for at kunne håndteres.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Amvuttra opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Amvuttra anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Amvuttra anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Amvuttra løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Amvuttra vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Amvuttra

Amvuttra fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 15. september 2022.

Yderligere information om Amvuttra findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 05-2025.