



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721921/2022  
EMA/H/C/005852

## Amvuttra (*Vutrisiran*)

Übersicht über Amvuttra und warum es in der EU zugelassen ist

### Was ist Amvuttra und wofür wird es angewendet?

Amvuttra ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Polyneuropathie (Nervenschädigung), die durch hereditäre Transthyretin-vermittelte (hATTR) Amyloidose verursacht wird. Dabei handelt es sich um eine Erkrankung, bei der sich abnormale Proteine, die als Amyloide bezeichnet werden, im Gewebe des Körpers, einschließlich der Nerven, anreichern.

Amvuttra wird bei erwachsenen Patienten in den ersten beiden Stadien der Nervenschädigung (Stadium 1, in dem der Patient Schwäche in den Beinen hat, aber ohne Hilfe gehen kann, und Stadium 2, bei dem der Patient noch laufen kann, aber Hilfe benötigt) angewendet.

hATTR-Amyloidose ist „selten“, und Amvuttra wurde am 25. Mai 2018 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie [hier](#).

Amvuttra enthält den Wirkstoff Vutrisiran.

### Wie wird Amvuttra angewendet?

Amvuttra ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von Patienten mit Amyloidose erfahrenen Arzt eingeleitet und überwacht werden. Die Behandlung sollte so früh wie möglich nach der Diagnose beginnen, um ein weiteres Fortschreiten der Erkrankung zu vermeiden.

Das Arzneimittel ist als Injektion unter die Haut (subkutan) in Abdomen, Oberschenkel oder Oberarm erhältlich. Die empfohlene Dosis beträgt 25 mg einmal alle 3 Monate. Die Patienten sollten während der Behandlung mit Amvuttra außerdem Vitamin-A-Ergänzungsmittel einnehmen.

Bei Patienten, deren Erkrankung zu Polyneuropathie Stadium 3 fortschreitet, kann der Arzt die Behandlung fortsetzen, wenn der Nutzen gegenüber den Risiken überwiegt.

Weitere Informationen zur Anwendung von Amvuttra entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

---

**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



## **Wie wirkt Amvuttra?**

Bei Patienten mit hATTR-Amyloidose ist ein im Blut zirkulierendes Protein namens Transthyretin fehlerhaft und zerfällt leicht. Das zerfallende Protein bildet Amyloidablagerungen in Geweben und Organen im Körper, einschließlich im Bereich der Nerven, wo es die normale Organfunktion beeinträchtigt.

Der Wirkstoff in Amvuttra, Vutrisiran, ist eine kleine interferierende RNA („small interfering RNA“ – siRNA), ein sehr kurzes synthetisches genetisches Material, das so konzipiert wurde, dass es an das genetische Material der Zellen, die für die Herstellung von Transthyretin verantwortlich sind, bindet und es blockiert. Dadurch wird die Produktion von fehlerhaftem Transthyretin verringert und somit die Bildung von Amyloiden reduziert, was eine Linderung der Symptome der hATTR-Amyloidose mit sich bringt.

## **Welchen Nutzen hat Amvuttra in den Studien gezeigt?**

In einer Hauptstudie, an der 164 Patienten mit hATTR-Amyloidose mit Nervenschädigung im Stadium 1 oder 2 teilnahmen, erwies sich Amvuttra bei der Verlangsamung der durch die Krankheit verursachten Nervenschädigung als wirksam.

Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung der Nervenschädigung der Patienten, gemessen anhand der sogenannten Standardskala „mNIS+7“, bei der ein verminderter Score auf eine Verbesserung und ein erhöhter Score auf eine Verschlechterung der Nervenschädigung hinweist. Nach 18-monatiger Behandlung sank der mNIS+7-Score unter Amvuttra um durchschnittlich etwa 0,5 Punkte. In einer weiteren Studie mit 225 Patienten, in der Onpattro (ein anderes hATTR-Amyloidose-Arzneimittel) mit Placebo verglichen wurde, wurde dies mit einem durchschnittlichen Anstieg von 28 Punkten unter Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen.

Die Studie zeigte auch, dass die Behandlung mit Amvuttra die Transthyretin-Spiegel mindestens so wirksam senkte wie Onpattro.

## **Welche Risiken sind mit Amvuttra verbunden?**

Sehr häufige Nebenwirkungen von Amvuttra (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Schmerzen in den Gliedmaßen (Arme und Beine) und Arthralgie (Gelenkschmerzen).

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Amvuttra berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## **Warum wurde Amvuttra in der EU zugelassen?**

Amvuttra hat sich bei der Verlangsamung der Nervenschädigung bei Patienten mit hATTR-Amyloidose mit Nervenschädigung im Stadium 1 oder 2 als wirksam erwiesen. In Bezug auf die Sicherheit werden die Nebenwirkungen als beherrschbar erachtet.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Amvuttra gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

## **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Amvuttra ergriffen?**

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Amvuttra, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Amvuttra kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Amvuttra werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

## **Weitere Informationen über Amvuttra**

Weitere Informationen zu Amvuttra finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra).