



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721922/2022
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisiran*)

Ανασκόπηση του Amvuttra και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Amvuttra και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Amvuttra είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της πολυνευροπάθειας (νευρολογική βλάβη) που οφείλεται στην κληρονομική αμυλοείδωση που προκαλείται από τρανσθυρετίνη (hATTR), μια νόσο κατά την οποία μη φυσιολογικές πρωτεΐνες που ονομάζονται αμυλοειδή συσσωρεύονται σε ιστούς του οργανισμού, καθώς και γύρω από τα νεύρα.

Το Amvuttra χορηγείται σε ενήλικες ασθενείς με νευρολογική βλάβη σταδίου 1 ή σταδίου 2 (στάδιο 1, κατά το οποίο ο ασθενής παρουσιάζει αδυναμία στα κάτω άκρα αλλά είναι σε θέση να περπατήσει χωρίς βοήθεια, και στάδιο 2, κατά το οποίο ο ασθενής μπορεί ακόμη να περπατήσει αλλά χρειάζεται βοήθεια).

Η αμυλοείδωση hATTR είναι «σπάνια» και το Amvuttra χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 25 Μαΐου 2018. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [εδώ](#).

Το Amvuttra περιέχει τη δραστική ουσία vutrisiran.

Πώς χρησιμοποιείται το Amvuttra;

Το Amvuttra χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή, η δε έναρξη και παρακολούθηση της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιούνται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία ασθενών με αμυλοείδωση. Η θεραπεία πρέπει να ξεκινά το συντομότερο δυνατόν μετά τη διάγνωση, ώστε να αποφεύγεται η περαιτέρω εξέλιξη της νόσου.

Το φάρμακο διατίθεται σε μορφή υποδόριας ένεσης και χορηγείται στην κοιλιακή χώρα, τον μηρό ή τον βραχίονα. Η συνιστώμενη δόση είναι 25 mg μία φορά κάθε 3 μήνες. Κατά τη διάρκεια της θεραπείας με Amvuttra, οι ασθενείς πρέπει να λαμβάνουν συμπληρώματα βιταμίνης Α.

Σε ασθενείς των οποίων η νόσος εξελίσσεται σε πολυνευροπάθεια σταδίου 3, ο γιατρός μπορεί να συνεχίσει τη θεραπεία εάν τα οφέλη υπερτερούν των κινδύνων.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Amvuttra, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

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



Πώς δρα το Amvuttra;

Στους ασθενείς με αμυλοείδωση hATTR, μια πρωτεΐνη που ονομάζεται τρανσθυρετίνη και κυκλοφορεί στο αίμα τους είναι ελαττωματική και διασπάται εύκολα. Η διασπασμένη πρωτεΐνη σχηματίζει αμυλοειδείς εναποθέσεις σε ιστούς και όργανα στον οργανισμό, μεταξύ άλλων γύρω από τα νεύρα, παρεμβαίνοντας έτσι στη φυσιολογική λειτουργία των οργάνων.

Η δραστική ουσία του Amvuttra, το vutrisiran, είναι ένα «μικρό παρεμβαλλόμενο ριβονουκλεϊκό οξύ (RNA)» (siRNA), ένα πολύ μικρό κομμάτι συνθετικού γενετικού υλικού, το οποίο έχει σχεδιαστεί για να προσκολλάται και να αναστέλλει το γενετικό υλικό των κυττάρων που είναι υπεύθυνα για την παραγωγή τρανσθυρετίνης. Κατ' αυτόν τον τρόπο μειώνεται η παραγωγή ελαττωματικής τρανσθυρετίνης και, κατά συνέπεια, και ο σχηματισμός αμυλοειδών, με αποτέλεσμα την ανακούφιση από τα συμπτώματα της αμυλοείδωσης hATTR.

Ποια είναι τα οφέλη του Amvuttra σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μία κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 164 ασθενείς με αμυλοείδωση hATTR με νευρολογική βλάβη σταδίου 1 ή 2, το Amvuttra αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην επιβράδυνση της νευρολογικής βλάβης που προκλήθηκε από τη νόσο.

Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή στην νευρολογική βλάβη των ασθενών, η οποία μετρήθηκε βάσει μιας τυποποιημένης κλίμακας που ονομάζεται «mNIS+7», στην οποία η μειωμένη βαθμολογία υποδεικνύει βελτίωση και η αυξημένη βαθμολογία υποδεικνύει επιδείνωση της νευρολογικής βλάβης. Μετά από 18 μήνες θεραπείας, η βαθμολογία mNIS+7 μειώθηκε κατά μέσο όρο κατά 0,5 μονάδες περίπου με το Amvuttra. Η μείωση αυτή συγκρίθηκε με τη μέση αύξηση 28 μονάδων που παρατηρήθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε μια άλλη μελέτη στην οποία μετείχαν 225 ασθενείς και στην οποία το Onpattro (άλλο φάρμακο για τη θεραπεία της αμυλοείδωσης hATTR) συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο.

Η μελέτη κατέδειξε επίσης ότι η θεραπεία με το Amvuttra ήταν τουλάχιστον εξίσου αποτελεσματική με τη θεραπεία με το Onpattro στη μείωση των επιπέδων της τρανσθυρετίνης.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Amvuttra;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες με το Amvuttra (ενδέχεται να παρατηρηθούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι πόνος στα άκρα (άνω και κάτω άκρα) και αρθραλγία (πόνος στις αρθρώσεις).

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Amvuttra, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Amvuttra στην ΕΕ;

Το Amvuttra αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην επιβράδυνση της νευρολογικής βλάβης σε ασθενείς με αμυλοείδωση hATTR και νευρολογική βλάβη σταδίου 1 ή 2. Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, οι ανεπιθύμητες ενέργειες θεωρούνται αντιμετωπίσιμες.

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Amvuttra υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Amvuttra;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Amvuttra.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Amvuttra τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Amvuttra αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Amvuttra

Περισσότερες πληροφορίες για το Amvuttra διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.