



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721923/2022
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisiran*)

Información general sobre Amvuttra y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Amvuttra y para qué se utiliza?

Amvuttra es un medicamento que se utiliza para tratar la polineuropatía (lesión de los nervios) causada por la amiloidosis hereditaria mediada por la transtiretina (ATTRh), una enfermedad en la que proteínas anormales llamadas amiloides se acumulan en los tejidos de todo el organismo, incluso alrededor de los nervios.

Amvuttra se utiliza en pacientes adultos en las dos primeras fases de la lesión nerviosa (fase 1, en la que el paciente presenta debilidad en las piernas pero es capaz de caminar sin ayuda, y fase 2, en la que el paciente aún puede caminar pero necesita ayuda).

La amiloidosis ATTRh es una enfermedad «rara», y Amvuttra fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 25 de mayo de 2018. Puede encontrar información adicional sobre la designación como medicamento huérfano [aquí](#).

Amvuttra contiene el principio activo vutrisirán.

¿Cómo se usa Amvuttra?

Amvuttra solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento lo debe iniciar y supervisar un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con amiloidosis. El tratamiento debe comenzar lo antes posible después del diagnóstico, para evitar una mayor progresión de la enfermedad.

El medicamento se presenta en forma de inyección bajo la piel (subcutánea) en el abdomen, el muslo o la parte superior del brazo. La dosis recomendada es de 25 mg una vez cada 3 meses. Los pacientes también deben tomar suplementos de vitamina A durante el tratamiento con Amvuttra.

En los pacientes cuya enfermedad progrese hasta la polineuropatía de fase 3, el médico podrá continuar el tratamiento si los beneficios son mayores que los riesgos.

Para mayor información sobre el uso de Amvuttra, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Amvuttra?

En los pacientes con amiloidosis ATTRh, la proteína transtiretina, que circula en la sangre, es defectuosa y se descompone con facilidad. La proteína descompuesta forma depósitos de amiloide en tejidos y órganos de todo el cuerpo, incluso alrededor de los nervios, donde interfiere con el funcionamiento normal de los órganos.

El principio activo de Amvuttra, el vutrisirán, es un «ARN pequeño de interferencia (siARN)», un fragmento muy corto de material genético sintético, que se ha diseñado para unirse al material genético de las células responsables de producir la transtiretina y bloquearlo. Esto disminuye la producción de transtiretina defectuosa, la formación de amiloide y aliviando los síntomas de la amiloidosis ATTRh.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Amvuttra en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 164 pacientes con amiloidosis ATTRh con lesión nerviosa en estadio 1 o 2, Amvuttra demostró ser eficaz para ralentizar la lesión nerviosa causada por la enfermedad.

El criterio principal de valoración de la eficacia fue la variación de la lesión nerviosa de los pacientes, medida mediante una escala estándar denominada «mNIS+7», en la que una disminución de la puntuación indica una mejoría y una mayor puntuación indica un empeoramiento de la lesión nerviosa. Al cabo de 18 meses de tratamiento, la puntuación mNIS+7 disminuyó por término medio unos 0,5 puntos con Amvuttra. Esto se comparó con un aumento medio de 28 puntos observado con placebo (un tratamiento ficticio) en otro estudio en el que participaron 225 pacientes en el que se comparó Onpattro (otro medicamento contra la amiloidosis ATTRh) con placebo.

El estudio también demostró que el tratamiento con Amvuttra fue al menos tan eficaz como Onpattro en la reducción de los niveles de transtiretina.

¿Cuál es el riesgo asociado a Amvuttra?

Los efectos adversos más frecuentes de Amvuttra (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor en las extremidades (brazos y piernas) y artralgia (dolor articular).

La lista completa de efectos adversos notificados de Amvuttra se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Amvuttra en la UE?

Amvuttra demostró ser eficaz para retrasar la lesión nerviosa en pacientes con amiloidosis ATTRh con lesión nerviosa en fase 1 o 2. En cuanto a la seguridad, los efectos adversos se consideran controlables.

La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Amvuttra son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Amvuttra?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Amvuttra se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Amvuttra se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Amvuttra se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otras informaciones sobre Amvuttra

Puede encontrar información adicional sobre Amvuttra en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.