



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721924/2022  
EMA/H/C/005852

## Amvuttra (vutrisiraan)

Ülevaade ravimist Amvuttra ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

### Mis on Amvuttra ja milleks seda kasutatakse?

Amvuttra on ravim, millega ravitakse transtüretiiniga seotud pärilikust (hATTR) amüloidoosist põhjustatud polüneuropaatiat (närvikahjustus). hATTR-amüloidoos on haigus, mille korral ladestuvad kogu organismi kudedesse, sealhulgas närvide ümber amüloidid (teatud ebanormaalsed valgud).

Amvuttrat kasutatakse täiskasvanud patsientidel, kellel on närvikahjustuse kaks esimest staadiumi (1. staadium: patsiendil on jalgade nõrkus, kuid ta suudab kõndida abita, ja 2. staadium: patsient suudab veel kõndida, kuid vajab abi).

hATTR-amüloidoos esineb harva ja Amvuttra nimetati 25. mail 2018 [harvikravimiks](#). Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav [siin](#).

Amvuttra sisaldab toimeainena vutrisiraani.

### Kuidas Amvuttrat kasutatakse?

Amvuttra on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima amüloidoosiga patsientide ravis kogenud arst. Ravi tuleb alustada võimalikult vara pärast diagnoosimist, et vältida haiguse edasist progresseerumist.

Ravimit turustatakse subkutaanse (nahaaluse) süstina kõhtu, reide või õlavarde. Soovitatav annus on 25 mg üks kord iga 3 kuu järel. Amvuttraga toimuva ravi ajal peavad patsiendid võtma lisaks A-vitamiini.

Patsientidel, kellel haigus progresseerub 3. staadiumi polüneuropaatiaks, võib arst ravi jätkata, kui kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Lisateavet Amvuttra kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

### Kuidas Amvuttra toimib?

hATTR-amüloidoosiga patsientidel on veres ringlev valk transtüretiin defektne ja laguneb kergesti. Lagunenud valgust tekivad amüloidi ladestused kudedesse ja elunditesse kogu organismis, sealhulgas närvide ümber, kus see häirib normaalset elunditalitlust.

---

**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



Amvuttra toimeaine vutrisiraan on väike interfereeriv RNA (siRNA), sünteetilise geneetilise materjali väga lühike lõik, mis seondub transtüretiini tootvate rakkude geneetilise materjaliga ja blokeerib selle. See vähendab defektse transtüretiini tootmist, vähendades omakorda amüloidide teket ja leevendades hATTR-amüloidoosi sümptomeid.

## **Milles seisneb uuringute põhjal Amvuttra kasulikkus?**

Ühes põhiuuringus, milles osales 164 hATTR-amüloidoosiga patsienti, kellel oli 1. või 2. staadiumi närvikahjustus, tõendati, et Amvuttra on efektiivne haigusest tingitud närvikahjustuse aeglustamisel.

Efektiivsuse põhinäitaja oli patsientide närvikahjustuse muutus, mida mõõdeti standardskaalal mNIS+7, kus punktisumma vähenemine viitab paranemisele ja punktisumma suurenemine närvikahjustuse süvenemisele. Pärast 18-kuulist ravi vähenes mNIS+7 skoor Amvuttra kasutamisel keskmiselt ligikaudu 0,5 punkti. Seda võrreldi platseeboga (näiv ravim) täheldatud 28-punktilise keskmise tõusuga teises uuringus, milles osales 225 patsienti ja milles võrreldi Onpattrot (samuti hATTR-amüloidoosi ravim) platseeboga.

Uuring tõendas ka, et ravi Amvuttraga oli transtüretiini sisalduse vähendamisel vähemalt sama efektiivne kui ravi Onpattroga.

## **Mis riskid Amvuttraga kaasnevad?**

Amvuttra kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on jäsemevalu ja liigesevalu.

Amvuttra kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

## **Miks Amvuttra ELis heaks kiideti?**

Tõendati, et Amvuttra aeglustas efektiivselt närvikahjustust hATTR-amüloidoosiga patsientidel, kellel oli 1. või 2. staadiumi närvikahjustus. Ohutuse seisukohast peetakse kõrvalnähte hallatavaks.

Euroopa Raviamet otsustas, et Amvuttra kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

## **Mis meetmed võetakse, et tagada Amvuttra ohutu ja efektiivne kasutamine?**

Amvuttra ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Amvuttra kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Amvuttra kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

## **Muu teave Amvuttra kohta**

Lisateave Amvuttra kohta on ameti veebilehel:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra).