



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Amvuttra (*vutrisiraani*)

Yleistiedot Amvuttra-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Amvuttra on ja mihin sitä käytetään?

Amvuttra on lääke, jolla hoidetaan transtyretiiniamyloidoosia (ATTR). Se on sairaus, jossa kehon eri kudoksiin, myös hermojen ja sydämen ympärille, kertyy amylaaseiksi kutsuttuja poikkeavia proteiineja.

Amvuttra annetaan aikuisille, joiden ATTR-amyloidoosi on perinnöllinen ja joilla on vaiheen 1 tai 2 polyneuropatia eli monihermosairaus (hermovaurio). Vaihe 1 tarkoittaa, että potilaalla on heikkoutta jaloissa, mutta hän pystyy kävelemään ilman apua. Vaihe 2 tarkoittaa, että potilas pystyy kävelemään mutta tarvitsee apua.

Amvuttra annetaan myös aikuisille, joilla on perinnöllinen tai ei-perinnöllinen ATTR-amyloidoosi ja joilla on kardiomyopatia (sydänlihaksen vaurio).

ATTR-amyloidoosi on harvinainen sairaus, ja Amvuttra nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 25. toukokuuta 2018. Lisätietoja harvinaislääkkeistä löytyy [täältä](#).

Amvuttran vaikuttava aine on vutrisiraani.

Miten Amvuttra-valmistetta käytetään?

Amvuttra saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta amyloidoosin hoitamisesta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa. Hoito on aloitettava mahdollisimman pian diagnoosin saamisen jälkeen, jotta sairauden etenemiseltä vältytään.

Lääkevalmistetta on saatavana esitäytetyissä ruiskuissa. Injektio annetaan kolmen kuukauden välein ihon alle vatsaan, reiteen tai olkavarteen. Potilaat ja hoitajat voivat antaa injektion itse saatuaan asianmukaisen koulutuksen.

Potilaiden on otettava A-vitamiinilisää päivittäin Amvuttra-hoidon aikana.

Lääkäri voi jatkaa hoitoa potilailla, joiden pöly neuropatia etenee vaiheeseen 3 (jolloin potilas ei pysty enää kävelemään), jos hoidon hyödyt ovat sen riskejä suuremmat.

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



Amvuttrasta on saatavilla vain vähän tietoja potilaista, joiden kardiomyopatia on edennyt vakavaksi (NYHA:n luokka IV tai III sekä NAC:n vaihe III). Jos potilaiden sairaus kuitenkin etenee näihin vaiheisiin Amvuttra-hoidon aikana, tiedot viittaavat siihen, että he voivat jatkaa hoitoa.

Lisätietoja Amvuttran käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Amvuttra vaikuttaa?

ATTR-amyloidoosia sairastavien potilaiden veressä kiertävä transtyretiini-proteiini on viallinen ja hajoaa helposti. Hajonnut proteiini muodostaa amyloidisaostumia kudoksissa ja elimissä eri puolilla kehoa, myös hermojen ja sydämen ympärillä, missä se haittaa elimen normaalia toimintaa.

Amvuttran vaikuttava aine vutrisiraani on ns. pieni häiritsevä RNA (siRNA), joka on laboratoriossa tuotettu lyhyt geneettisen materiaalin kappale, joka kiinnittyy transtyretiinin tuottamisesta vastaavien solujen geneettiseen materiaaliin ja estää sen toiminnan. Tämä vähentää transtyretiinin tuotantoa ja pienentää siten amyloidien muodostumista ja helpottaa ATTR-amyloidoosin oireita.

Mitä hyötyä Amvuttrasta on havaittu tutkimuksissa?

Ensimmäisessä päätutkimuksessa, johon osallistui 164 perinnöllistä ATTR-amyloidoosia ja vaiheen 1 tai 2 polyneuropatiaa sairastavaa potilasta, Amvuttran osoitettiin hidastavan tehokkaasti sairauden aiheuttamia hermovaurioita. Tässä tutkimuksessa Amvuttraa ei verrattu toiseen lääkkeeseen tai lumelääkkeeseen.

Tehon pääasiallisena mittana oli muutos potilaan hermovaurioihin liittyvissä oireissa mNIS+7-standardiasteikolla mitattuna. Alhaiset pisteet viittaavat paranemiseen ja korkeammat pisteet tilan huononemiseen. mNIS+7-pisteet laskivat 18 kuukauden hoidon jälkeen Amvuttra saaneilla potilailla keskimäärin noin 0,5 pistettä. Tulosta verrattiin lumelääkettä saaneiden potilaiden keskimääräiseen 28 pisteen nousuun toisessa tutkimuksessa, johon osallistui 225 potilasta. Kyseisessä tutkimuksessa Onpattroa (toinen lääke perinnölliseen ATTR-amyloidoosiin) verrattiin lumelääkkeeseen.

Tutkimus osoitti myös, että Amvuttra-hoito alensi transtyretiinin pitoisuuksia vähintään yhtä tehokkaasti kuin Onpattro.

Toisessa päätutkimuksessa, johon osallistui 655 perinnöllistä tai ei-perinnöllistä ATTR-amyloidoosia ja kardiomyopatiaa sairastavaa potilasta, Amvuttran osoitettiin pienentävän tehokkaasti vakavien kardiologisten (sydämeen ja verenkiertoon vaikuttavien) ongelmien ja kuoleman riskiä. Tutkimuksessa tarkasteltiin niiden potilaiden määrää, jotka kuolivat kolmen vuoden kuluessa tai joilla oli toistuvia kardiovaskulaarisia tapahtumia, jotka vaativat sairaalahoitoa, tai sydämen vajaatoimintaa, joka vaati kiireellistä hoitoa. Amvuttra saaneilla potilailla kardiovaskulaaristen ongelmien ja kuoleman riski pieneni noin 28 prosenttia lumelääkettä saaneisiin potilaisiin verrattuna.

Mitä riskejä Amvuttraan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Amvuttran haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Amvuttran yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään 1 potilaalle 10:stä) ovat injektiokohdan reaktio sekä alkalisen fosfataasin ja alaniinitransferaasin (maksasentsyymien) kohonneet pitoisuudet veressä.

Miksi Amvuttra on hyväksytty EU:ssa?

Amvuttran osoitettiin olevan tehokas hermovaurioiden hidastamisessa potilailla, joilla oli perinnöllinen ATTR-amyloidoosi ja vaiheen 1 tai 2 pöly neuropatia. Sen osoitettiin myös vähentävän vakavien

kardiovaskulaaristen ongelmien ja kuoleman riskiä potilailla, joilla on perinnöllinen tai ei-perinnöllinen ATTR-amyloidoosi, johon liittyy kardiomyopatia. Turvallisuuden osalta haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Amvuttrasta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Amvuttran turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Amvuttran käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Amvuttran käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Amvuttrasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Amvuttrasta

Amvuttra sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 15. syyskuuta 2022.

Lisätietoja Amvuttrasta on viraston verkkosivustolla ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 5-2025.