



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Amvuttra (*vutrisiran*)

Aperçu d'Amvuttra et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Amvuttra et dans quel cas est-il utilisé?

Amvuttra est un médicament indiqué dans le traitement de l'amylose à transthyrétine (ATTR). Dans cette maladie, des protéines anormales appelées amyloïdes s'accumulent dans les tissus de l'organisme, notamment autour des nerfs et du cœur.

Amvuttra est indiqué chez les adultes dont l'amylose ATTR est héréditaire et qui sont atteints d'une polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2 (lésions nerveuses). Le stade 1 signifie que le patient présente une faiblesse au niveau des jambes, mais qu'il est capable de marcher sans assistance. Le stade 2 signifie que le patient peut marcher, mais qu'il a besoin d'aide.

Amvuttra est également utilisé chez les adultes atteints d'amylose ATTR héréditaire ou non héréditaire et souffrant de cardiomyopathie (atteinte du muscle cardiaque).

L'amylose ATTR est rare et Amvuttra a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 25 mai 2018. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles [ici](#).

Amvuttra contient la substance active vutrisiran.

Comment Amvuttra est-il utilisé?

Amvuttra n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans le traitement de patients atteints d'amylose. Le traitement doit commencer le plus tôt possible après le diagnostic, afin d'éviter que la maladie n'évolue davantage.

Le médicament est disponible sous la forme de seringues préremplies. Il est administré une fois tous les trois mois par injection sous la peau dans l'abdomen, la cuisse ou le bras. Les patients et les soignants peuvent administrer eux-mêmes l'injection après avoir reçu une formation appropriée.

Les patients doivent prendre quotidiennement des compléments de vitamine A pendant le traitement par Amvuttra.

Pour les patients dont la polyneuropathie progresse jusqu'à un stade 3 (lorsque le patient ne peut plus marcher), le médecin peut poursuivre le traitement si les bénéfices l'emportent sur les risques.

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



Les données disponibles sur Amvuttra chez les patients à des stades sévères de cardiomyopathie sont limitées (classe IV de la NYHA ou classe III de la NYHA plus stade III du NAC). Toutefois, si les patients passent à ces stades pendant le traitement par Amvuttra, ces données suggèrent qu'ils peuvent poursuivre le traitement.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Amvuttra, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Amvuttra agit-il?

Chez les patients atteints d'amylose ATTR, une protéine appelée «transthyrétine», qui circule dans le sang, est défectueuse et se dégrade facilement. La protéine dégradée forme des dépôts d'amyloïde dans les tissus et les organes dans l'ensemble du corps, notamment autour des nerfs et du cœur, où elle interfère avec la fonction normale des organes.

La substance active d'Amvuttra, le vutrisiran, est un petit acide ribonucléique interférent (pARNi), un petit fragment de matériel génétique produit en laboratoire, qui se fixe sur le matériel génétique des cellules responsables de la production de transthyrétine et le bloque. Cela permet de réduire la production de transthyrétine défectueuse, ce qui réduit à son tour la formation d'amyloïdes et soulage les symptômes de l'amylose ATTR.

Quels sont les bénéfices d'Amvuttra démontrés au cours des études?

Dans une première étude principale portant sur 164 patients atteints d'amylose ATTR héréditaire et de polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2, Amvuttra s'est avéré efficace pour ralentir les lésions nerveuses causées par la maladie. Dans cette étude, Amvuttra n'a pas été comparé à un autre médicament ou à un placebo.

Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était une modification des symptômes des lésions nerveuses chez les patients, mesurée par une échelle standard appelée mNIS+7, dans laquelle une diminution de score indique une amélioration et une augmentation du score une détérioration. Après 18 mois de traitement, le score mNIS+7 a diminué en moyenne d'environ 0,5 point chez les patients ayant reçu Amvuttra. Ces résultats ont été comparés à une augmentation moyenne de 28 points chez les patients ayant reçu un placebo (un traitement fictif) dans une autre étude portant sur 225 patients et comparant Onpattro (un autre médicament utilisé dans le traitement de l'amylose ATTR héréditaire) à un placebo.

L'étude a également montré que le traitement par Amvuttra était au moins aussi efficace qu'Onpattro pour réduire les taux de transthyrétine.

Dans une deuxième étude principale portant sur 655 patients atteints d'amylose ATTR héréditaire ou non héréditaire et de cardiomyopathie, Amvuttra s'est avéré efficace pour réduire le risque de problèmes cardiovasculaires graves (affectant le cœur et la circulation sanguine) et de décès. L'étude a permis d'examiner le nombre de patients qui, sur une période de trois ans, étaient décédés ou avaient présenté des événements cardiovasculaires récurrents tels qu'une hospitalisation ou une insuffisance cardiaque nécessitant une consultation en urgence. Les patients ayant reçu Amvuttra présentaient une réduction d'environ 28 % du risque de problèmes cardiovasculaires et de décès par rapport aux patients ayant reçu un placebo (un traitement fictif).

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Amvuttra?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Amvuttra, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Amvuttra (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont notamment les suivants: réaction au site d'injection et augmentation des taux sanguins de phosphatase alcaline et d'alanine transaminase (enzymes du foie).

Pourquoi Amvuttra est-il autorisé dans l'UE?

Amvuttra s'est avéré efficace pour ralentir les lésions nerveuses chez les patients atteints d'amylose ATTR héréditaire atteints d'une polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2. Il a également été démontré qu'il permettait de réduire les risques de problèmes cardiovasculaires graves et de décès chez les patients atteints d'une amylose ATTR héréditaire ou non héréditaire avec cardiomyopathie. En ce qui concerne la sécurité, les effets indésirables sont considérés comme gérables.

Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Amvuttra sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Amvuttra?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Amvuttra ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Amvuttra sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Amvuttra sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Amvuttra:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Amvuttra le 15 septembre 2022.

De plus amples informations sur Amvuttra sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 05-2025.