



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Amvuttra (*vutrisiran*)

Pregled informacija o lijeku Amvuttra i zašto je odobren u EU-u

Što je Amvuttra i za što se koristi?

Amvuttra se koristi za liječenje transtiretinske amiloidoze (ATTR), bolesti pri kojoj se abnormalni proteini naziva amiloidi nakupljaju u tkivima u organizmu, uključujući oko živaca i srca.

Amvuttra se primjenjuje u odraslih osoba s nasljednom ATTR amiloidozom koji imaju 1. ili 2. stadij polineuropatije (oštećenje živaca). 1. stadij znači da bolesnik osjeća slabost u nogama, ali može hodati bez pomoći. 2. stadij znači da bolesnik može hodati, ali mu je potrebna pomoć.

Amvuttra se primjenjuje i u odraslih osoba s nasljednom ili nenasljednom ATTR amiloidozom koje imaju kardiomiopatiju (oštećenje srčanog mišića).

ATTR amiloidoza rijetka je bolest, a lijek Amvuttra dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 25. svibnja 2018. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je [ovdje](#).

Amvuttra sadrži djelatnu tvar vutrisiran.

Kako se Amvuttra primjenjuje?

Amvuttra se izdaje samo na recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s amiloidozom. Liječenje treba započeti što je prije moguće nakon dijagnoze kako bi se izbjeglo daljnje napredovanje bolesti.

Lijek je dostupan u napunjenim štrcaljkama, a primjenjuje se jednom svaka tri mjeseca potkožnom injekcijom u trbuh (abdomen), bedro ili nadlakticu. Bolesnici i njegovatelji mogu sami davati injekciju nakon što prođu odgovarajuću obuku.

Tijekom terapije lijekom Amvuttra bolesnici trebaju svakodnevno uzimati dodatke vitamina A.

U bolesnika čija polineuropatija uznapreduje do 3. stadija (kada bolesnik više ne može hodati), liječnik može nastaviti liječenje ako koristi nadmašuju rizike.

Dostupni su ograničeni podatci o primjeni lijeka Amvuttra u bolesnika u teškim stadijima kardiomiopatije (NYHA klasa IV ili NYHA klasa III te stadij III prema NAC-u). Međutim, ako bolest progredira do tih stadija tijekom uzimanja lijeka Amvuttra, ti podatci upućuju na to da se liječenje može nastaviti.

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



Za više informacija o primjeni lijeka Amvuttra pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Amvuttra?

U bolesnika s ATTR amiloidozom protein naziva transtiretin, koji cirkulira u krvi, oštećen je i lako se lomi. Raspadnuti protein stvara nakupine amiloida u tkivima i organima u organizmu, uključujući oko živaca i srca, što ometa normalnu funkciju organa.

Djelatna tvar lijeka Amvuttra, vutrisiran, mali je interferirajući RNK (siRNK), kratak komad genetskog materijala proizveden u laboratoriju, koji se veže na genetski materijal stanica odgovornih za proizvodnju transtiretina i blokira ga. To dovodi do smanjenog stvaranja oštećenog transtiretina, čime se smanjuje nastajanje amiloida i ublažavaju simptomi ATTR amiloidoze.

Koje su koristi od lijeka Amvuttra utvrđene u ispitivanjima?

U prvom glavnom ispitivanju u kojem je sudjelovalo 164 bolesnika s nasljednom ATTR amiloidozom i polineuropatijom u 1. i 2. stadiju lijek Amvuttra pokazao se učinkovitim u usporavanju oštećenja živaca koje ta bolest uzrokuje. U tom ispitivanju lijek Amvuttra nije uspoređen s drugim lijekom ni s placebom.

Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena u simptomima oštećenja živaca u bolesnika, izmjerena standardnom ljestvicom naziva mNIS+7, gdje niži rezultat upućuje na poboljšanje, a viši rezultat na pogoršanje. Nakon 18 mjeseci liječenja rezultat mNIS+7 smanjio se za prosječno oko 0,5 bodova u bolesnika koji su primali lijek Amvuttra. To je uspoređeno s prosječnim povećanjem od 28 bodova u bolesnika koji su primali placebo (prividno liječenje) u drugom ispitivanju na 225 bolesnika u kojem je lijek Onpattro (drugi lijek za nasljednu ATTR amiloidozu) uspoređen s placebom.

Ispitivanje je isto tako pokazalo da je terapija lijekom Amvuttra bila barem jednako učinkovita kao i ona lijekom Onpattro u smanjivanju razine transtiretina.

U drugom glavnom ispitivanju, u kojem je sudjelovalo 655 bolesnika s nasljednom ili nenasljednom ATTR amiloidozom i kardiomiopatijom, lijek Amvuttra pokazao se učinkovitim u smanjenju rizika od ozbiljnih kardiovaskularnih problema (koji zahvaćaju srce i krvotok) i smrti. U ispitivanju se promatrao broj bolesnika koji su u razdoblju od tri godine umrli ili su imali ponavljajuće (rekurentne) kardiovaskularne događaje kao što su hospitalizacija ili zatajenje srca zbog kojih je bio potreban hitan odlazak liječniku. U bolesnika koji su primali lijek Amvuttra rizik od kardiovaskularnih problema i smrti smanjen je za približno 28 % u usporedbi s bolesnicima koji su primali placebo (prividno liječenje).

Koji su rizici povezani s lijekom Amvuttra?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Amvuttra potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Amvuttra (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) uključuju reakciju na mjestu primjene injekcije i povišene razine alkalne fosfataze i alanin transaminaze (jetrenih enzima) u krvi.

Zašto je lijek Amvuttra odobren u EU-u?

Lijek Amvuttra pokazao se učinkovitim u usporavanju oštećenja živaca u bolesnika koji imaju nasljednu ATTR amiloidozu s polineuropatijom u 1. ili 2. stadiju. Isto tako, utvrđeno da se njime smanjuje rizik od ozbiljnih kardiovaskularnih problema i smrti u bolesnika koji imaju nasljednu ili nenasljednu ATTR

amiloidozu s kardiomiopatijom. Kad je riječ o sigurnosti primjene, smatra se da je nuspojave moguće kontrolirati.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Amvuttra nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Amvuttra?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Amvuttra nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Amvuttra kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave lijeka Amvuttra pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Amvuttra

Za lijek Amvuttra izdano je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 15. rujna 2022.

Više informacija o lijeku Amvuttra dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 5. 2025.