



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721928/2022
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisziran*)

Az Amvuttra-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Amvuttra és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Amvuttra a polineuropátiával (idegkárosodás) járó örökletes transztiretin-amiloidózis (hATTR) kezelésére alkalmazott gyógyszer. Ennél a betegségnél amiloidoknak nevezett rendellenes fehérjék halmozódnak fel a test különféle szöveteiben, többek között az idegek körül is.

Az Amvuttra-t felnőtt betegeknél alkalmazzák az idegkárosodás első két stádiumában (az 1-es stádiumban a beteg lábgyengeséget érez, de képes segítség nélkül járni, a 2-es stádiumban a beteg még tud járni, de segísége van szüksége).

Mivel a hATTR amiloidózis „ritkának” minősül, ezért az Amvuttra-t 2018. május 25-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről [itt](#) található.

Az Amvuttra hatóanyaga a vutrisziran.

Hogyan kell alkalmazni az Amvuttra-t?

Az Amvuttra csak receptre kapható, és a kezelést az amiloidózisban szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie. A kezelést a diagnózis felállítása után a lehető leghamarabb meg kell kezdeni, hogy el lehessen kerülni a betegség további súlyosbodását.

A gyógyszer a has, a comb vagy a felkar bőre alá (szubkután) adandó injekció formájában kapható. Az ajánlott adag háromhavonta egyszer 25 mg. Az Amvuttra-kezelés alatt a betegeknél A-vitamin-pótlás szükséges.

Azoknál a betegeknél, akiknél a betegség 3-as stádiumú polineuropátiává súlyosbodik, a kezelőorvos folytathatja a kezelést, ha az előnyök meghaladják a kockázatokat.

Az Amvuttra alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejt ki hatását az Amvuttra?

A hATTR amiloidózisban szenvedő betegeknél a vérben keringő transtiretin nevű fehérje hibás és könnyen törik. A törött fehérje a szervezetben amiloid-lerakódásokat képez a szövetekben és a szervekben, többek között az idegek körül is, és akadályozza a szervek normál működését.

Az Amvuttra hatóanyaga, a vutriszirán, egy „rövid interferáló RNS” (siRNS), azaz egy nagyon rövid szintetikus genetikai anyag, amelyet arra terveztek, hogy a transtiretin termeléséért felelős sejtek genetikai anyagához kötődjön és azt blokkolja. Ez csökkenti a hibás transtiretin termelését, ezáltal csökkentve az amiloidok képződését és enyhítve a hATTR amiloidózis tüneteit.

Milyen előnyei voltak az Amvuttra alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban, amelyben 164, 1-es vagy 2-es stádiumú idegkárosodással járó hATTR amiloidózisban szenvedő beteg vett részt, az Amvuttra hatásosnak bizonyult a betegség által okozott idegkárosodás lassításában.

A hatásosság fő mutatója a betegek idegkárosodásában bekövetkezett változás volt, amelyet az „mNIS+7” elnevezésű standard skálán mértek. A skálán az alacsonyabb pontszám javulást, a magasabb pontszám pedig az idegkárosodás súlyosbodását jelzi. Az Amvuttra-val végzett 18 hónapos kezelést követően az mNIS+7 pontszám átlagosan körülbelül 0,5 ponttal csökkent. Ezt összehasonlították egy másik, 225 beteg részvételével végzett vizsgálattal, amelyben az Onpattro-t (egy másik, a hATTR amiloidózis kezelésére alkalmazott gyógyszer) placebóval hasonlították össze, és amelyben a placebo (hatóanyag nélküli kezelés) esetén 28 pontos növekedést tapasztaltak.

A vizsgálat azt is kimutatta, hogy az Amvuttra-val végzett kezelés legalább olyan hatékony volt a transtiretin szintjének csökkentésében, mint az Onpattro.

Milyen kockázatokkal jár az Amvuttra alkalmazása?

Az Amvuttra leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a végtagfájdalom és az ízületi fájdalom.

Az Amvuttra alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Amvuttra forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Amvuttra hatékonynak bizonyult az 1-es vagy 2-es stádiumú idegkárosodással járó hATTR amiloidózisban szenvedő betegek idegkárosodásának lassításában. A biztonságosságot illetően a mellékhatásokat kezelhetőnek tartják.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Amvuttra alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Amvuttra biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Amvuttra biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Amvuttra alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Amvuttra alkalmazásával összefüggésben

jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Amvuttra-val kapcsolatos egyéb információ

Az Amvuttra-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.