



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721929/2022
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisiran*)

Sintesi di Amvuttra e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Amvuttra e per cosa si usa?

Amvuttra è un medicinale usato per il trattamento dell'amiloidosi da polineuropatia (danno ai nervi) causata da amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (hATTR), una malattia in cui proteine anomale denominate amiloidi si accumulano nei tessuti dell'organismo, compreso intorno ai nervi.

Amvuttra è usato nei pazienti adulti nei primi due stadi della neuropatia (stadio 1, in cui il paziente presenta debolezza alle gambe, ma è in grado di camminare da solo, e stadio 2, in cui il paziente può ancora camminare, ma necessita di assistenza).

L'amiloidosi hATTR è rara e Amvuttra è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 25 maggio 2018. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Amvuttra contiene il principio attivo vutrisiran.

Come si usa Amvuttra?

Amvuttra può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere avviato e supervisionato da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti da amiloidosi. Il trattamento deve iniziare il prima possibile dopo la diagnosi, per evitare un'ulteriore progressione della malattia.

Il medicinale è disponibile sotto forma di iniezione sottocutanea nell'addome, nella coscia o nella parte superiore del braccio. La dose raccomandata è di 25 mg una volta ogni 3 mesi. Durante il trattamento con Amvuttra i pazienti devono assumere anche integratori di vitamina A.

Nei pazienti la cui malattia progredisce fino allo stadio 3 della polineuropatia, il medico può proseguire il trattamento se i benefici sono superiori ai rischi.

Per maggiori informazioni sull'uso di Amvuttra, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Amvuttra?

Nei pazienti affetti da amiloidosi hATTR una proteina denominata transtiretina che circola nel sangue è difettosa e si scompone facilmente. Una volta scomposta, tale proteina forma depositi di amiloide nei

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



tessuti e negli organi di tutto il corpo, compresi i nervi, interferendo con la normale funzione dell'organo.

Il principio attivo di Amvuttra, vutrisiran, è un "RNA interferente breve" (siRNA), un frammento di materiale genetico sintetico molto breve concepito per legarsi al materiale genetico delle cellule responsabili della produzione di transtiretina e bloccarlo. Ciò riduce la produzione di transtiretina difettosa, diminuendo pertanto la formazione di amiloidi e alleviando i sintomi dell'amiloidosi hATTR.

Quali benefici di Amvuttra sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio principale condotto su 164 pazienti affetti da amiloidosi hATTR con neuropatia allo stadio 1 o 2, Amvuttra si è dimostrato efficace nel rallentare la neuropatia causata dalla malattia.

Il principale parametro dell'efficacia era la variazione della neuropatia dei pazienti, misurata in base a una scala standard denominata "mNIS+7", in cui una diminuzione del punteggio indica un miglioramento e un aumento del punteggio indica un peggioramento della neuropatia. Dopo 18 mesi di trattamento, con Amvuttra il punteggio mNIS+7 è diminuito in media di circa 0,5 punti. Ciò è stato confrontato con un aumento medio di 28 punti osservato con placebo (un trattamento fittizio) in un altro studio su 225 pazienti che ha confrontato Onpattro (un altro medicinale per l'amiloidosi hATTR) con placebo.

Lo studio ha inoltre dimostrato che il trattamento con Amvuttra era almeno altrettanto efficace di Onpattro nel ridurre i livelli di transtiretina.

Quali sono i rischi associati ad Amvuttra?

Gli effetti indesiderati più comuni di Amvuttra (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono dolore agli arti (braccia e gambe) e artralgia (dolore articolare).

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Amvuttra, vedere il foglio illustrativo.

Perché Amvuttra è autorizzato nell'UE?

Amvuttra si è dimostrato efficace nel rallentare la neuropatia in pazienti con amiloidosi hATTR con neuropatia allo stadio 1 o stadio 2. Per quanto riguarda la sicurezza, gli effetti indesiderati sono considerati gestibili.

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Amvuttra sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Amvuttra?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Amvuttra sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Amvuttra sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Amvuttra sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Amvuttra

Ulteriori informazioni su Amvuttra sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.