



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Amvuttra (*vutrisiranas*)

Amvuttra apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Amvuttra ir kam jis vartojamas?

Amvuttra – tai vaistas, kuriuo gydoma transtiretino amiloidozė (ATTR) – liga, kuria sergant kūno audiniuose, įskaitant aplink nervus ir širdį, kaupiasi anomaliniai baltymai, vadinami amiloidais.

Amvuttra skiriamas suaugusiesiems, kurių ATTR amiloidozė paveldima ir kuriems diagnozuota 1 arba 2 stadijos polineuropatija (nervų pažeidimas). 1 stadija reiškia, kad pacientui pasireiškia kojų silpnumas, bet jis gali vaikščioti be pagalbinių priemonių. 2 stadija reiškia, kad pacientas gali vaikščioti, tačiau jam reikia pagalbos.

Amvuttra taip pat skiriamas paveldima arba nepaveldima ATTR amiloidoze sergantiems suaugusiesiems, kuriems diagnozuota kardiomiopatija (širdies raumenų pažeidimas).

ATTR amiloidozė laikoma reta liga, todėl 2018 m. gegužės 25 d. Amvuttra buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retiesiems vaistams rasite [čia](#).

Amvuttra sudėtyje yra veikliosios medžiagos vutrisirano.

Kaip vartoti Amvuttra?

Amvuttra galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis amiloidoze sergančių pacientų gydymo patirties. Nustačius diagnozę, gydymą reikia pradėti kuo anksčiau, kad būtų išvengta tolesnio ligos progresavimo.

Vaistas tiekiamas užpildytuose švirkštuose ir švirkščiamas po pilvo, šlaunies ar žasto oda kartą kas 3 mėnesius. Tinkamai išmokyti pacientai ir juos slaugantys asmenys gali patys susišvirkšti (sušvirkšti) vaistą.

Gydymo Amvuttra laikotarpiu pacientai kasdien turi vartoti vitamino A papildus.

Pacientams, kurių polineuropatija išsivystė į 3 stadiją (kai pacientas nebegali eiti), gydytojas gali tęsti gydymą, jei jo nauda yra didesnė už keliamą riziką.

Duomenų apie Amvuttra poveikį sunkių stadijų (NYHA IV klasės arba NYHA III klasės ir NAC III stadijos) kardiomiopatija sergantiems pacientams yra nedaug. Tačiau jei vartojant Amvuttra, pacientų būklė progresuoja iki šių stadijų, šie duomenys rodo, kad gydymas gali būti tęsiamas.

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



Daugiau informacijos apie Amvuttra vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Amvuttra?

ATTR amiloidoze sergančių pacientų kraujyje cirkuliuoja pakitęs ir lengvai skylantis baltymas transtiretinas. Suiręs baltymas organizme esančiuose audiniuose ir organuose, taip pat aplink nervus ir širdį, suformuoja amiloidines sankaupas, kurios sutrikdo normalią organų veiklą.

Amvuttra veiklioji medžiaga vutrisiranas yra nedidelė interferuojanti RNR (siRNA) – trumpa laboratorijoje pagaminta genetinės medžiagos dalis, kuri jungiasi prie ląstelių, atsakingų už transtiretino gamybą, ir blokuoja jų genetinę medžiagą. Dėl tokio poveikio žmogaus organizme pagaminama mažiau pakitusio transtiretino, todėl susidaro mažiau amiloidų ir malšinami ATTR amiloidozės simptomai.

Kokia Amvuttra nauda nustatyta tyrimų metu?

Pirmame pagrindiniame tyrime su 164 pacientais, sergančiais paveldima ATTR amiloidoze ir 1 arba 2 stadijos polineuropatija, nustatyta, kad Amvuttra veiksmingai sulėtina ligos sukeltą nervų pažeidimą. Šiame tyrime Amvuttra nebuvo lyginamas su kitu vaistu ar placebo.

Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų nervų pažeidimo simptomų pokytis, vertinamas pagal standartinę skalę mNIS+7, kurioje sumažėjęs balas reiškia pagerėjimą, o didesnis balas – pablogėjimą. Po 18 gydymo mėnesių Amvuttra vartojusių pacientų mNIS+ 7 balas sumažėjo vidutiniškai maždaug 0,5 punkto. Kitame tyrime su 225 pacientais, kuriame Onpattro (kitas vaistas nuo paveldimos ATTR) buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos), vertinimo balas vidutiniškai padidėjo 28.

Tyrimas taip pat parodė, kad gydymas Amvuttra transtiretino koncentraciją mažino ne mažiau veiksmingai nei Onpattro.

Antrame pagrindiniame tyrime su 655 pacientais, sergančiais paveldima arba nepaveldima ATTR amiloidoze ir kardiomiopatija, nustatyta, kad Amvuttra veiksmingai sumažina sunkių širdies ir kraujagyslių sistemos sutrikimų (širdies ir kraujo apytakos sutrikimų) ir mirties riziką. Tyrimo metu buvo vertinama, kiek pacientų mirė arba per 3 metus patyrė pasikartojančius širdies ir kraujagyslių sistemos reiškinius, pvz., hospitalizaciją arba širdies nepakankamumą, dėl kurio būtina skubiai apsilankyti pas gydytoją. Amvuttra vartojusių pacientų širdies ir kraujagyslių sistemos sutrikimų ir mirties rizika sumažėjo maždaug 28 proc., palyginti su pacientais, kurie vartojo placebo (preparatą be veikliosios medžiagos).

Kokia rizika susijusi su Amvuttra vartojimu?

Išsamų visų Amvuttra šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Amvuttra šalutinis poveikis (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra reakcija injekcijos vietoje ir padidėjęs šarminės fosfatazės ir alanino transaminazės (kepenų fermentų) kiekis kraujyje.

Kodėl Amvuttra buvo registruotas ES?

Nustatyta, kad Amvuttra veiksmingai sulėtina 1 arba 2 stadijos polineuropatija sergančių pacientų, kuriems diagnozuota paveldima ATTR amiloidozė, nervų pažeidimą. Taip pat nustatyta, kad šis vaistas sumažina sunkių širdies ir kraujagyslių sistemos sutrikimų ir mirties riziką pacientams, sergantiems

paveldima arba nepaveldima ATTR amiloidoze ir kardiomiopatija. Vertinant Amvuttra saugumą, laikomasi nuomonės, kad šio vaisto sukeltus šalutinius reiškinius galima kontroliuoti.

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Amvuttra nauda yra didesnė už keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Amvuttra vartojimą?

I preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Amvuttra vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Amvuttra vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Amvuttra šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Amvuttra

Amvuttra buvo registruotas visoje ES 2022 m. rugsėjo 15 d.

Daugiau informacijos apie Amvuttra rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2025-05.