



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721908/2022  
EMA/H/C/005852

## Amvuttra (*vutrisirāns*)

*Amvuttra* pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir *Amvuttra* un kāpēc tās lieto?

*Amvuttra* ir zāles, ko lieto, lai ārstētu polineuropātiju (nervu bojājumus), ko izraisa iedzimta transtiretīna mediēta (*hATTR*) amiloidoze – slimība, kad patoloģiski proteīni, ko dēvē par amiloīdiem, uzkrājas organisma audos, tostarp ap nerviem.

*Amvuttra* tiek lietotas pieaugušiem pacientiem pirmajās divās nervu bojājuma stadijās (1. stadijā, kad pacientam ir vājums kājās, bet viņš spēj patstāvīgi staigāt, un 2. stadijā, kad pacients vēl var staigāt, bet viņam ir nepieciešama palīdzība).

*hATTR* amiloidoze ir "reta", un 2018. gada 25. maijā *Amvuttra* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Plašāka informācija par zāļu apzīmējumu reti sastopamu slimību ārstēšanai ir pieejama [šeit](#).

*Amvuttra* satur aktīvo vielu vutrisirānu.

### Kā lieto *Amvuttra*?

*Amvuttra* var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi amiloidozes pacientu ārstēšanā. Ārstēšana pēc diagnozes noteikšanas ir jāsāk pēc iespējas ātri, lai izvairītos no slimības turpmākas progresēšanas.

Zāles ir pieejamas kā zemādas (subkutāna) injekcija vēdera, augšstilba vai augšdelma apvidū. Ieteicamā deva ir 25 mg reizi 3 mēnešos. Pacientiem *Amvuttra* terapijas laikā jālieto arī A vitamīna piedevas.

Pacientiem, kuriem slimība progresē līdz 3. pakāpes polineuropātijai, ārsts var turpināt ārstēšanu, ja ieguvumi atsver riskus.

Papildu informāciju par *Amvuttra* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Kā *Amvuttra* darbojas?**

Pacientiem ar *hATTR* amiloidozi ir bojāts proteīns, ko dēvē par transtiretīnu un kas cirkulē asinīs un viegli noārdās. Proteīni pēc noārdīšanās veido amiloīda nogulsnes organisma audos un orgānos, tostarp ap nerviem, kur tas traucē normālai orgāna darbībai.

*Amvuttra* aktīvā viela vutrisirāns ir "sīka interferējoša RNS" (siRNS), ļoti īsa sintētiska ģenētiskā materiāla daļa, kas ir izstrādāta, lai piesaistītos šūnu ģenētiskajam materiālam, kas atbild par transtiretīna ražošanu, un bloķētu to. Tas samazina bojātā transtiretīna producēšanu, tādējādi mazinot amiloīdu veidošanos un atvieglojot *hATTR* amiloidozes simptomus.

## **Kādi *Amvuttra* ieguvumi atklāti pētījumos?**

Vienā pamatpētījumā, iesaistot 164 pacientus ar *hATTR* amiloidozi ar 1. vai 2. stadijas nervu bojājumiem, pierādīja *Amvuttra* efektivitāti, palēninot slimības izraisīto nervu bojājumu rašanos.

Galvenais efektivitātes rādītājs bija izmaiņas pacientu nervu bojājumos, ko mērīja ar standarta skalu, ko dēvē par "mNIS+7", kur samazināts rādītājs norāda uz uzlabošanos un augstāks rādītājs norāda uz nervu bojājumu progresēšanu. Pēc 18 mēnešus ilgas ārstēšanas, lietojot *Amvuttra*, "mNIS+7" rādītājs samazinājās vidēji par aptuveni 0,5 punktiem. To salīdzināja ar vidējo pieaugumu par 28 punktiem, ko novēroja, lietojot placebo (fiktīvu ārstēšanu) citā pētījumā, kurā piedalījās 225 pacienti un salīdzināja *Onpattro* (citas *hATTR* amiloidozes zāles) ar placebo.

Pētījumā arī pierādīja, ka ārstēšana ar *Amvuttra* ir vismaz tikpat efektīva kā ārstēšana ar *Onpattro*, samazinot transtiretīna līmeni.

## **Kāds risks pastāv, lietojot *Amvuttra*?**

Visbiežākās *Amvuttra* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir sāpes ekstremitātēs (rokās un kājās) un artralģija (sāpes locītavās).

Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Amvuttra*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

## **Kāpēc *Amvuttra* ir reģistrētas ES?**

Tika pierādīta *Amvuttra* efektivitāte, palēninot nervu bojājumu rašanos pacientiem ar *hATTR* amiloidozi ar 1. vai 2. stadijas nervu bojājumiem. Attiecībā uz drošumu blakusparādības tiek uzskatītas par kontrolējamām.

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Amvuttra*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

## **Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Amvuttra* lietošanu?**

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Amvuttra* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Amvuttra* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Amvuttra* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

## **Cita informācija par *Amvuttra***

Sīkāka informācija par *Amvuttra* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra).