



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721909/2022
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisiran*)

Ħarsa ġenerali lejn Amvuttra u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Amvuttra u għal xiex jintuża?

Amvuttra huwa mediċina li tintuża biex tikkura l-polinewropatija (ħsara fin-nervituri) kkawżata minn amilojdoži ereditarja medjata minn transthyretin (amilojdoži hATTRh), marda li fiha l-proteini anormali msejġha amilojdi jingemgħu fit-tessuti ta' madwar il-ġisem inkluż madwar in-nervituri.

Amvuttra jintuża f'pazjenti adulti fl-ewwel żewġ stadji tal-ħsara fin-nervituri (stadju 1, meta l-pazjent ikollu dgħjufija fis-saqajn iżda jkun jista' jimxi mingħajr għajjnuna, u stadju 2, meta l-pazjent ikun għadu jista' jimxi iżda jeħtieġ l-għajjnuna).

Amilojdoži hATTR hija rari, u Amvuttra ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fil-25 ta' Mejju 2018. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab [hawn](#).

Amvuttra fih is-sustanza attiva vutrisiran.

Kif jintuża Amvuttra?

Amvuttra jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tiġi sorveljata minn tabib b'esperjenza fil-kura ta' pazjenti b'amilojdoži. Il-kura għandha tinbeda kmieni kemm jista' jkun wara d-dijanjożi, biex tiġi evitata progressjoni ulterjuri tal-marda.

Il-mediċina tiġi bħala injezzjoni taħt il-ġilda (subkutanja) fl-addome, fil-koxxa, jew fil-parti ta' fuq tad-driegħ. Id-doża rakkomandata hija 25 mg darba kull 3 xhur. Il-pazjenti għandhom jieħdu wkoll supplimenti tal-vitamina A matul il-kura b'Amvuttra.

Għal pazjenti li l-marda tagħhom tipprogressa għal polinewropatija ta' stadju 3, it-tabib jista' jkompli l-kura jekk il-benefiċċji jkunu akbar mir-riskji.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Amvuttra, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif jaħdem Amvuttra?

F'pazjenti b'amilojdoži hATTR, proteina msejġha transthyretin li tiċċirkola fid-demm hija difettuża u tinkiser faċilment. Il-proteina mkissra tiffurma depożiti amilojdi f'tessuti u f'organi madwar il-ġisem, inkluż madwar in-nervituri, fejn tinterferixxi mal-funzjoni normali tal-organu.

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



Is-sustanza attiva f'Amvuttra, il-vutrisiran, hija "RNA żgħira li tinterferixxi" (siRNA), biċċa qasira ħafna ta' materjal ġenetiku sintetiku, li tfassal biex jeħel ma' u jimblokka l-materjal ġenetiku taċ-ċelloli responsabbli għall-produzzjoni ta' transthyretin. Dan inaqqas il-produzzjoni ta' transthyretin difettuż, u b'hekk inaqqas il-formazzjoni ta' amilojdi u jtaffi s-sintomi tal-amilojdożi hATTR.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Amvuttra li ħarġu mill-istudji?

Fi studju ewlieni wieħed li involva 164 pazjent b'amilojdożi hATTR bi ħsara fin-nervituri fl-istadju 1 jew 2, Amvuttra ntweri li huwa effettiv biex inaqqas il-progressjoni tal-ħsara fin-nervituri kkawżata mill-marda.

Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-ħsara fin-nervituri tal-pazjenti, kif imkejla minn skala standard imsejha "mNIS+7", fejn punteġg imnaqqas jindika titjib u punteġg miżjud jindika ħsara fin-nervituri li sejra għall-aġġar. Wara 18-il xahar ta' kura, il-punteġg mNIS+7 naqqas b'ħala medja b'madwar 0.5 punti b'Amvuttra. Dan tqabbel ma' żieda medja ta' 28 punt li dehret bi placebo (kura finta) fi studju ieħor li involva 225 pazjent li qabbel Onpattro (medicina amilojdożi hATTR oħra) ma' placebo.

L-istudju wera wkoll li l-kura b'Amvuttra kienet tal-inqas effettiva daqs Onpattro fit-tnaqqis tal-livelli ta' transthyretin.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Amvuttra?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Amvuttra (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma wġiġh fl-estremitajiet (dirgħajn u riglejn) u artralġja (uġiġh fil-ġogi).

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji ta' Amvuttra, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Amvuttra ġie awtorizzat fl-UE?

Amvuttra ntweri li huwa effettiv biex inaqqas il-progressjoni tal-ħsara fin-nervituri f'pazjenti b'amilojdożi hATTR bi ħsara fin-nervituri fl-istadju 1 jew fl-istadju 2. Fir-rigward tas-sigurtà, l-effetti sekondarji huma kkunsidrati maniġġabbli.

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Amvuttra huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Amvuttra?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Amvuttra.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Amvuttra hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati b'Amvuttra huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tippoteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Amvuttra

Aktar informazzjoni dwar Amvuttra tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.