EMA/160809/2025
EMEA/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 għat-trattament ta' amilojdożi transthyretin (ATTR), marda li fiha l-proteini anormali msejħa amilojdi jinġemgħu fit-tessuti ta' madwar il-ġisem, inkluż madwar in-nervituri u l-qalb.

Amvuttra jintuża f'adulti li l-amilojdożi ATTR tagħhom hija ereditarja u li għandhom polinewropatija ta' stadju 1 jew 2 (ħsara fin-nervituri). Stadju 1 ifisser li l-pazjent għandu dgħjufija fir-riġlejn iżda jista' jimxi mingħajr għajnuna. Stadju 2 ifisser li l-pazjent jista' jimxi iżda jeħtieġ l-għajnuna.

Amvuttra jintuża wkoll f'adulti b'amilojdożi ATTR ereditarja jew mhux ereditarja li għandhom kardjomijopatija (ħsara fil-muskolu tal-qalb).

Amilojdożi ATTR 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 t-trattament għandu jinbeda u jiġi ssorveljat minn tabib b'esperjenza fit-trattament ta' pazjenti b'amilojdożi. It-trattament għandu jinbeda kmieni kemm jista' jkun wara d-dijanożi, biex tiġi evitata progressjoni ulterjuri tal-marda.

Il-mediċina tiġi bħala siringi mimlija lesta u tingħata darba kull 3 xhur b'injezzjoni taħt il-ġilda fl-addome, fil-koxxa, jew fin-naħa ta' fuq tad-driegħ. Il-pazjenti u l-persuni li jieħdu ħsiebhom jistgħu jagħtu l-injezzjoni huma stess wara taħriġ xieraq.

Il-pazjenti għandhom jieħdu supplimenti tal-vitamina A kuljum matul it-trattament b'Amvuttra.

Għall-pazjenti li l-polinewropatija tagħhom tipprogressa għall-istadju 3 (meta l-pazjent ma jkunx jista' jimxi aktar), it-tabib jista' jkompli t-trattament jekk il-benefiċċji jkunu akbar mir-riskji.

Hemm *data* limitata disponibbli fuq Amvuttra f'pazjenti fi stadji severi ta' kardjomijopatija (klassi IV ta' NYHA jew klassi III ta' NYHA flimkien ma' stadju III ta' NAC). Madankollu, jekk il-pazjenti javvanzaw għal dawn l-istadji waqt li jkunu qed jieħdu Amvuttra, din id-*data* tissuġġerixxi li jistgħu jkomplu t-trattament.

© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

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'amilojdożi ATTR, proteina msejħa transthyretin li tiċċirkola fid-demm hija difettuża u tinkiser faċilment. Il-proteina mkissra tifforma depożiti amilojdi f'tessuti u f'organi madwar il-ġisem, inkluż madwar in-nervituri u l-qalb, fejn tinterferixxi mal-funzjoni normali tal-organi.

Is-sustanza attiva f'Amvuttra, il-vutrisiran, hija RNA ta' interferenza żgħira (siRNA), biċċa qasira ta' materjal ġenetiku prodott f'laboratorju, li teħel ma' u timblokka l-materjal ġenetiku taċ-ċelloli responsabbli għall-produzzjoni tat-transthyretin. Dan inaqqas il-produzzjoni ta' transthyretin difettuż, u b'hekk inaqqas il-formazzjoni ta' amilojdi u jtaffi s-sintomi tal-amilojdożi ATTR.

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

Fl-ewwel studju ewlieni li involva 164 pazjent b'amilojdożi ATTR ereditarja u polinewropatija ta' stadju 1 jew 2, Amvuttra ntwera li huwa effettiv biex inaqqas il-progressjoni tal-ħsara fin-nervituri kkawżata mill-marda. F'dan l-istudju, Amvuttra ma tqabbilx ma' mediċina oħra jew ma' plaċebo.

Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien bidla fis-sintomi tal-pazjenti ta' ħsara fin-nervituri, kif imkejla minn skala standard imsejħa mNIS+7, fejn punteġġ aktar baxx jindika titjib u punteġġ ogħla jindika deterjorament. Wara 18-il xahar ta' trattament, il-punteġġ mNIS+7 naqas b'medja ta' madwar 0.5 punti f'pazjenti li ngħataw Amvuttra. Dan tqabbel ma' żieda medja ta' 28 punt f'pazjenti li ngħataw plaċebo (trattament fint) fi studju ieħor li involva 225 pazjent li qabbel Onpattro (mediċina amilojdożi ATTR ereditarja oħra) ma' plaċebo.

L-istudju wera wkoll li t-trattament b'Amvuttra kien tal-inqas effettiv daqs Onpattro fit-tnaqqis tal-livelli ta' transthyretin.

Fit-tieni studju ewlieni, li involva 655 pazjent b'amilojdożi ATTR ereditarja jew mhux ereditarja u b'kardjomijopatija, Amvuttra ntwera li huwa effettiv biex inaqqas ir-riskju ta' problemi kardjovaskulari serji (li jaffettwaw il-qalb u ċ-ċirkolazzjoni tad-demm) u l-mewt. L-istudju ħares lejn l-għadd ta' pazjenti li, matul 3 snin, mietu jew kellhom avvenimenti kardjovaskulari rikorrenti bħal rikoveru fl-isptar jew insuffiċjenza tal-qalb li kienu jirrikjedu żjara urġenti. Il-pazjenti li ngħataw Amvuttra kellhom tnaqqis ta' madwar 28 % fir-riskju ta' problemi kardjovaskulari u mewt meta mqabbla ma' pazjenti li ngħataw plaċebo (trattament fint).

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Amvuttra?

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

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Amvuttra (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 10) jinkludu reazzjoni fis-sit tal-injezzjoni u livelli ogħla fid-demm tal-alkaline phosphatase u tal-alanine transaminase (enzimi tal-fwied).

Għaliex Amvuttra ġie awtorizzat fl-UE?

Amvuttra ntwera li huwa effettiv biex inaqqas il-ħsara fin-nervituri f'pazjenti b'amilojdożi ATTR ereditarja b'polinewropatija ta' stadju 1 jew ta' stadju 2. Intwera wkoll li jnaqqas ir-riskji ta' problemi kardjovaskulari serji u mewt f'pazjenti b'amilojdożi ATTR ereditarja jew mhux ereditarja b'kardjomijopatija. Fir-rigward tas-sigurtà, l-effetti sekondarji huma kkunsidrati maniġġabbli.

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini għaldaqstant iddeċidiet 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-prekawzjonijiet 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 tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Amvuttra

Amvuttra rċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fil-15 ta' Settembru 2022.

Aktar informazzjoni dwar Amvuttra tinstab fis-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'05-2025.