



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721910/2022
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisiran*)

Een overzicht van Amvuttra en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Amvuttra en wanneer wordt het voorgeschreven?

Amvuttra is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van polyneuropathie (zenuwbeschadiging) veroorzaakt door erfelijke transthyretinegemedieerde (hATTR) amyloïdose, een ziekte waarbij abnormale eiwitten genaamd amyloïden zich in het hele lichaam in weefsels ophopen, ook rond de zenuwen.

Amvuttra wordt gebruikt bij volwassen patiënten tijdens de eerste twee stadia van de zenuwbeschadiging (in stadium 1 heeft de patiënt zwakte in de benen, maar is hij of zij in staat zonder hulpmiddelen te lopen; in stadium 2 kan de patiënt nog wel lopen, maar moet daarbij worden geholpen).

hATTR-amyloïdose is zeldzaam, en Amvuttra werd op 25 mei 2018 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u [hier](#).

Amvuttra bevat de werkzame stof vutrisiran.

Hoe wordt Amvuttra gebruikt?

Amvuttra is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van amyloïdose. De behandeling moet zo vroeg mogelijk na de diagnose worden gestart om verdere progressie van de ziekte te voorkomen.

Het geneesmiddel is verkrijgbaar in de vorm van een voorgevulde spuit voor injectie onder de huid (subcutaan) in de buik, dij of bovenarm. De aanbevolen dosis is 25 mg eenmaal per drie maanden. Patiënten moeten tijdens de behandeling met Amvuttra ook vitamine A-supplementen innemen.

Ingeval de ziekte verergert en stadium 3 van de polyneuropathie bereikt, kan de behandelend arts besluiten de behandeling voort te zetten als de voordelen opwegen tegen de risico's.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Amvuttra.

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



Hoe werkt Amvuttra?

Bij patiënten met hATTR-amyloïdose is een eiwit genaamd transthyretine dat in het bloed circuleert defect en raakt dit eiwit snel beschadigd. Het beschadigde eiwit vormt amyloïdeafzettingen in weefsels en organen in het hele lichaam, ook rond de zenuwen, waardoor de normale werking van de organen wordt verstoord.

De werkzame stof in Amvuttra, vutrisiran, is een 'klein interfererend RNA' (siRNA), een heel kort stukje synthetisch genetisch materiaal dat zodanig is ontwikkeld dat het zich hecht aan het genetisch materiaal van de cellen die verantwoordelijk zijn voor de aanmaak van transthyretine en dit blokkeert. Hierdoor vermindert de aanmaak van defect transthyretine en neemt de vorming van amyloïden af, waardoor de symptomen van hATTR-amyloïdose worden verlicht.

Welke voordelen bleek Amvuttra tijdens de studies te hebben?

In een hoofdstudie onder 164 patiënten met hATTR-amyloïdose en met zenuwbeschadiging in stadium 1 of 2 bleek Amvuttra werkzaam te zijn bij het vertragen van de zenuwbeschadiging die door de ziekte wordt veroorzaakt.

De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in de zenuwbeschadiging van de patiënten, zoals gemeten met behulp van een standaardschaal genaamd 'mNIS+7', waarbij een lagere score wijst op een verbetering en een hogere score wijst op een verergering van de zenuwbeschadiging. Na 18 maanden behandeling met Amvuttra was de mNIS+7-score met ongeveer 0,5 punten gedaald. Dit stond tegenover een gemiddelde stijging van 28 punten bij placebo (een schijnbehandeling) in een andere studie onder 225 patiënten, waarbij Onpattro (een ander hATTR-amyloïdose-geneesmiddel) werd vergeleken met placebo.

Uit de studie bleek ook dat de behandeling met Amvuttra ten minste even werkzaam was als Onpattro bij het verlagen van de transthyretinespiegel.

Welke risico's houdt het gebruik van Amvuttra in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Amvuttra (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn pijn in de ledematen (armen en benen) en artralgie (gewrichtspijn).

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van Amvuttra.

Waarom is Amvuttra geregistreerd in de EU?

Amvuttra bleek werkzaam te zijn bij het vertragen van de zenuwbeschadiging bij patiënten met hATTR-amyloïdose met zenuwbeschadiging in stadium 1 of 2. Met betrekking tot de veiligheid worden de bijwerkingen als beheersbaar beschouwd.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Amvuttra groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Amvuttra te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Amvuttra, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Amvuttra continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Amvuttra worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Amvuttra

Meer informatie over Amvuttra is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.