



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Amvuttra (*wutrisyran*)

Przegląd wiedzy na temat leku Amvuttra i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Amvuttra i w jakim celu się go stosuje

Lek Amvuttra jest stosowany w leczeniu amyloidozy transtyretynowej (ang. *hereditary transthyretin amyloidosis with polyneuropathy*, ATTR), choroby, w przebiegu której nieprawidłowe białko (nazywane amyloidozą) gromadzi się w tkankach organizmu, w tym wokół nerwów i serca.

Lek Amvuttra stosuje się u osób dorosłych, u których amyloidoza ATTR jest dziedziczna i u których występuje polineuropatia (uszkodzenie nerwów) w I albo II stadium zaawansowania. Stadium I oznacza, że u pacjenta występuje osłabienie kończyn dolnych, ale może się on poruszać bez pomocy. Stadium II oznacza, że pacjent może się poruszać, ale potrzebuje pomocy.

Lek Amvuttra stosuje się również u osób dorosłych z dziedziczną lub niedziedziczną amyloidozą ATTR, u których występuje kardiomiopatia (uszkodzenie mięśnia sercowego).

Ze względu na to, że amyloidoza ATTR jest chorobą rzadko występującą, w dniu 25 maja 2018 r. lek Amvuttra uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć [tutaj](#).

Substancją czynną zawartą w leku Amvuttra jest wutrisyran.

Jak stosować lek Amvuttra

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów cierpiących na amyloidozę. Leczenie należy rozpocząć jak najwcześniej po rozpoznaniu, aby zapobiec progresji choroby.

Lek jest dostępny w postaci ampułko-strzykawek i podaje się go raz na 3 miesiące we wstrzyknięciu podskórnym w brzuch, udo lub górną część ramienia. Pacjenci i opiekunowie mogą samodzielnie wykonywać wstrzyknięcia po odpowiednim przeszkoleniu.

Podczas stosowania leku Amvuttra pacjenci powinni codziennie stosować suplementację witaminą A.

W przypadku pacjentów, u których dochodzi do progresji polineuropatii do III stadium zaawansowania (pacjent nie jest w stanie się poruszać), lekarz może podjąć decyzję o kontynuowaniu leczenia, jeśli płynące z niego korzyści przewyższają związane z nim ryzyko.

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



Dostępne dane dotyczące stosowania leku Amvuttra u pacjentów w ciężkich stadiach kardiomiopatii (klasa IV wg NYHA albo klasa III wg NYHA oraz stadium III wg NAC) są ograniczone. Jeśli jednak u pacjenta wystąpi progresja do tych stadiów podczas przyjmowania leku Amvuttra, dostępne dane sugerują, że leczenie może być kontynuowane.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Amvuttra znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Amvuttra

U pacjentów z amyloidozą ATTR krążące w krwiobiegu białko zwane transtyretyną ma nieprawidłową budowę i łatwo ulega rozkładowi. Rozłożone białko powoduje powstanie złogów amyloidu w tkankach i narządach w całym organizmie, w tym wokół nerwów i serca, i zaburza prawidłową pracę narządów.

Substancja czynna leku Amvuttra, wutrisyran, to mały interferujący RNA (siRNA) — krótki fragment materiału genetycznego wytwarzany w laboratorium, który przyłącza się do materiału genetycznego w komórkach odpowiedzialnych za wytwarzanie transtyretyny i blokuje go. Powoduje to zmniejszenie wytwarzania nieprawidłowej transtyretyny, a co za tym idzie — ograniczenie powstawania złogów amyloidu i złagodzenie objawów amyloidozy ATTR.

Korzyści ze stosowania leku Amvuttra wykazane w badaniach

W pierwszym badaniu głównym z udziałem 164 pacjentów z dziedziczną amyloidozą ATTR i polineuropatią w I albo II stadium zaawansowania wykazano, że lek Amvuttra skutecznie spowalnia uszkodzenie nerwów spowodowane chorobą. W tym badaniu leku Amvuttra nie porównywano z innym lekiem ani z placebo.

Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana objawów uszkodzenia nerwów u pacjentów, mierzona za pomocą standardowej skali o nazwie mNIS+7, gdzie niższy wynik wskazuje na poprawę, a wyższy — na pogorszenie. Po 18 miesiącach leczenia u pacjentów otrzymujących lek Amvuttra wynik w skali mNIS+7 zmniejszył się średnio o około 0,5 punktu, w porównaniu ze średnim wzrostem o 28 punktów u pacjentów otrzymujących placebo (leczenie pozorowane) w innym badaniu z udziałem 225 pacjentów, porównującym lek Onpattro (inny lek stosowany w dziedzicznej amyloidozie ATTR) z placebo.

W badaniu wykazano również, że terapia lekiem Amvuttra była co najmniej tak samo skuteczna w obniżaniu stężenia transtyretyny jak terapia lekiem Onpattro.

W drugim badaniu głównym z udziałem 655 pacjentów z dziedziczną lub niedziedziczną amyloidozą ATTR i kardiomiopatią wykazano, że lek Amvuttra skutecznie zmniejsza ryzyko poważnych problemów sercowo-naczyniowych (wpływających na serce i krążenie krwi) i zgonu. W badaniu oceniano liczbę pacjentów, w przypadku których, w ciągu 3 lat, odnotowano zgon lub nawracające zdarzenia sercowo-naczyniowe, takie jak hospitalizacja lub niewydolność serca wymagające pilnej pomocy medycznej. U pacjentów otrzymujących lek Amvuttra, w porównaniu z pacjentami otrzymującymi placebo (leczenie pozorowane), ryzyko problemów sercowo-naczyniowych i zgonu było mniejsze o około 28%.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Amvuttra

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Amvuttra znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Amvuttra (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to reakcja w miejscu wstrzyknięcia oraz zwiększenie stężenia fosfatazy zasadowej i aminotransferazy alaninowej (enzymów wątrobowych) we krwi.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Amvuttra w UE

Wykazano, że lek Amvuttra skutecznie spowalnia uszkodzenie nerwów u pacjentów z dziedziczną amyloidozą ATTR i polineuropatią w I albo II stadium zaawansowania. Wykazano również, że lek zmniejsza ryzyko poważnych problemów sercowo-naczyniowych i zgonu u pacjentów z dziedziczną lub niedziedziczną amyloidozą ATTR z kardiomiopatią. W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania działania niepożądane uważa się za możliwe do kontrolowania.

Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Amvuttra przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Amvuttra

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Amvuttra w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Amvuttra są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Amvuttra są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Amvuttra

Lek Amvuttra otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 15 września 2022 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Amvuttra znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Data ostatniej aktualizacji: 05.2025.