



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

Amvuttra (*vutrisiran*)

Um resumo sobre Amvuttra e porque está autorizado na UE

O que é Amvuttra e para que é utilizado?

Amvuttra é um medicamento utilizado no tratamento da amiloidose associada à transtirretina (ATTR), uma doença em que as proteínas anormais denominadas amiloïdes se acumulam em tecidos em todo o organismo, incluindo em torno dos nervos e do coração.

Amvuttra é utilizado em adultos cuja amiloidose ATTR é hereditária e que têm polineuropatia de estádio 1 ou 2 (lesões nos nervos). O estádio 1 significa que o doente apresenta fraqueza nas pernas, mas é capaz de andar sem ajuda. O estádio 2 significa que o doente pode caminhar, mas precisa de ajuda.

Amvuttra é também utilizado em adultos com amiloidose ATTR hereditária ou não hereditária que sofrem de cardiomiopatia (lesão do músculo cardíaco).

A amiloidose ATTR é uma doença rara, e Amvuttra foi designado «medicamento órfão» (medicamento utilizado em doenças raras) em 25 de maio de 2018. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas [aqui](#).

Amvuttra contém a substância ativa vutrisiran.

Como se utiliza Amvuttra?

Amvuttra só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com amiloidose. O tratamento deve ser iniciado o mais cedo possível após o diagnóstico, para evitar a posterior progressão da doença.

O medicamento está disponível na forma de seringas pré-cheias e é administrado uma vez a cada 3 meses por injeção subcutânea (sob a pele) no abdómen, na coxa ou na parte superior do braço. Os doentes e os prestadores de cuidados podem administrar eles próprios a injeção após formação adequada.

Os doentes devem tomar suplementos de vitamina A diariamente durante o tratamento com Amvuttra.

Nos doentes cuja polineuropatia progride para o estágio 3 (quando o doente já não consegue caminhar), o médico pode continuar o tratamento se os benefícios forem superiores aos riscos.

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



Existem poucos dados disponíveis sobre Amvuttra em doentes em fases graves de cardiomiopatia (classe IV da NYHA ou classe NYHA III mais NAC estádio III). No entanto, se os doentes avançarem para estes estádios enquanto tomam Amvuttra, estes dados sugerem que podem continuar o tratamento.

Para mais informações sobre a utilização de Amvuttra, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Amvuttra?

Em doentes com amiloidose ATTR, a transtirretina, uma proteína que circula no sangue, é defeituosa e decompõe-se facilmente. A proteína decomposta forma depósitos amiloïdes nos tecidos e órgãos do corpo, incluindo em torno dos nervos e do coração, onde interfere com a função normal dos órgãos.

A substância ativa de Amvuttra, o vutrisiran, é um pequeno ARN de interferência (siRNA), um pequeno pedaço de material genético produzido em laboratório que se liga ao material genético das células responsáveis pela produção de transtirretina e o bloqueia. Esta ação reduz a produção de transtirretina defeituosa, reduzindo assim a formação de amiloïdes e atenuando os sintomas da amiloidose ATTR.

Quais os benefícios demonstrados por Amvuttra durante os estudos?

Num primeiro estudo principal que incluiu 164 doentes com amiloidose ATTR hereditária e polineuropatia de estádio 1 ou 2, Amvuttra demonstrou ser eficaz no abrandamento dos danos nos nervos causados pela doença. Neste estudo, Amvuttra não foi comparado com outro medicamento ou com um placebo.

O principal parâmetro de eficácia foi uma alteração nos sintomas de lesões nervosas dos doentes, medida por uma escala padrão denominada mNIS +7, em que uma pontuação mais baixa indica uma melhoria e uma pontuação mais elevada indica um agravamento. Após 18 meses de tratamento, a pontuação da mNIS+7 diminuiu em média cerca de 0,5 pontos nos doentes que receberam Amvuttra. Este resultado foi comparado com um aumento médio de 28 pontos nos doentes que receberam um placebo (tratamento simulado) noutro estudo que incluiu 225 doentes que comparou Onpattro (outro medicamento para o tratamento da amiloidose ATTR hereditária) com um placebo.

O estudo mostrou igualmente que o tratamento com Amvuttra foi pelo menos tão eficaz como o tratamento com Onpattro na redução dos níveis de transtirretina.

Num segundo estudo principal que incluiu 655 doentes com amiloidose ATTR hereditária ou não hereditária e cardiomiopatia, Amvuttra demonstrou ser eficaz na redução do risco de problemas cardiovasculares graves (que afetam o coração e a circulação sanguínea) e de morte. O estudo analisou o número de doentes que, ao longo de 3 anos, morreram ou tiveram eventos cardiovasculares recorrentes, tais como hospitalização ou insuficiência cardíaca que necessitaram de uma consulta urgente. Os doentes que receberam Amvuttra apresentaram uma redução de aproximadamente 28 % no risco de problemas cardiovasculares e morte, em comparação com os doentes que receberam um placebo (tratamento simulado).

Quais são os riscos associados a Amvuttra?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Amvuttra, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Amvuttra (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) incluem reação no local da injeção e aumento dos níveis sanguíneos de fosfatase alcalina e alanina aminotransferase (enzimas hepáticas).

Por que está Amvuttra autorizado na UE?

Amvuttra demonstrou ser eficaz no abrandamento das lesões nervosas em doentes com amiloidose ATTR hereditária com polineuropatia de estádio 1 ou 2. Demonstrou-se também a redução dos riscos de problemas cardiovasculares graves e morte em doentes com amiloidose ATTR hereditária ou não hereditária com cardiomiopatia. Relativamente à segurança, os efeitos secundários são considerados controláveis.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Amvuttra são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Amvuttra?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Amvuttra.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Amvuttra são continuamente monitorizados. As suspeitas de efeitos secundários comunicadas com Amvuttra são cuidadosamente avaliadas e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Amvuttra

A 15 de setembro de 2022, Amvuttra recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 05-2025.