



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721913/2022
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisiran*)

Prezentare generală a Amvuttra și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Amvuttra și pentru ce se utilizează?

Amvuttra este un medicament utilizat pentru tratarea polineuropatiei (afectarea neurologică) cauzată de amiloidoza ereditară mediată de transtiretină (hATTR), o boală în care proteine anormale numite amiloide se acumulează în țesuturile din întregul organism, inclusiv în jurul nervilor.

Amvuttra se utilizează la pacienții adulți aflați în primele două stadii de afectare neurologică (stadiul 1, când pacientul are slăbiciune la nivelul picioarelor, dar poate să meargă fără ajutor, și stadiul 2, când pacientul încă mai poate merge, dar are nevoie de ajutor).

Amiloidoza hATTR este rară, iar Amvuttra a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 25 mai 2018. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite [aici](#).

Amvuttra conține substanța activă vutrisiran.

Cum se utilizează Amvuttra?

Amvuttra se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul pacienților cu amiloidoză. Tratamentul trebuie început cât mai curând după stabilirea diagnosticului, pentru a evita evoluția ulterioară a bolii.

Medicamentul este disponibil sub formă de injecție sub piele (subcutanată) în abdomen, coapsă sau partea superioară a brațului. Doza recomandată este de 25 mg o dată la 3 luni. De asemenea, în timpul tratamentului cu Amvuttra, pacienților trebuie să li se administreze suplimente de vitamina A.

În cazul pacienților a căror boală progresează până în stadiul 3 de polineuropatie, medicul poate continua tratamentul dacă beneficiile depășesc riscurile.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Amvuttra, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



Cum acționează Amvuttra?

La pacienții cu amiloidoză hATTR, proteina numită transtiretină care circulă în sânge este deficientă și se descompune ușor. Proteina descompusă formează depozite de amiloidă în țesuturile și organele din corp, inclusiv în jurul nervilor, interferând astfel cu funcțiile normale ale acestora.

Substanța activă din Amvuttra, vutrisiranul, este un „ARN interferent mic” (siRNA), un fragment foarte mic de material genetic sintetic, care a fost conceput să se lege și să blocheze materialul genetic al celulelor responsabile pentru producerea transtiretinei. În acest fel se reduce producția de transtiretină defectuoasă, încetinind astfel formarea de amiloide și ameliorând simptomele amiloidozei hATTR.

Ce beneficii a prezentat Amvuttra pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal care a implicat 164 de pacienți cu amiloidoză hATTR în stadiul 1 sau 2 de afectare neurologică, s-a arătat că Amvuttra este eficientă în încetinirea afectării neurologice cauzate de boală.

Principala măsură a eficacității a fost modificarea în afectarea neurologică a pacienților, măsurată conform unei scale standard numite „mNIS+7”, în care un scor mic indică o îmbunătățire, iar un scor mare indică agravarea afectării neurologice. După 18 luni de tratament cu Amvuttra, scorul mNIS+7 a scăzut în medie cu aproximativ 0,5 puncte. Acest rezultat a fost comparat cu o creștere medie de 28 de puncte observată la placebo (un preparat inactiv) în alt studiu la care au participat 225 de pacienți și care a comparat Onpattro (alt medicament pentru amiloidoză hATTR) cu placebo.

De asemenea, studiul a demonstrat că tratamentul cu Amvuttra a fost cel puțin la fel de eficient ca tratamentul cu Onpattro în ceea ce privește reducerea nivelului de transtiretină.

Care sunt riscurile asociate cu Amvuttra?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Amvuttra (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri la nivelul extremităților (brațe și picioare) și artralgie (dureri articulare).

Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Amvuttra, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Amvuttra în UE?

Amvuttra s-a dovedit eficientă în încetinirea avansării afectării neurologice la pacienții cu amiloidoză hATTR în stadiul 1 sau 2 de afectare neurologică. În ceea ce privește siguranța, reacțiile adverse sunt considerate gestionabile terapeutic.

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Amvuttra sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficientă a Amvuttra?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficientă a Amvuttra, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Amvuttra sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Amvuttra sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Amvuttra

Informații suplimentare cu privire la Amvuttra sunt disponibile pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.