



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Amvuttra (*vutrisiran*)

Prehľad o lieku Amvuttra a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Amvuttra a na čo sa používa?

Liek Amvuttra sa používa na liečbu transtretínovej amyloidózy (ATTR), ochorenia, pri ktorom sa abnormálne proteíny nazývané amyloidy hromadia v tkanivách rôznych častí tela vrátane tých, ktoré sa nachádzajú okolo nervov a srdca.

Liek Amvuttra sa používa u dospelých, ktorých ATTR amyloidóza je dedičná a ktorí majú polyneuropatiu (poškodenie nervov) 1. alebo 2. stupňa. 1. stupeň znamená, že pacient trpí slabosťou v nohách, ale je schopný chodiť bez pomoci. 2. stupeň znamená, že pacient môže chodiť, ale potrebuje pomoc.

Liek Amvuttra sa používa aj u dospelých s dedičnou alebo nededičnou ATTR amyloidózou, ktorí majú kardiomyopatiu (poškodenie srdcového svalu).

Dedičná forma transtretínovej amyloidózy je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Amvuttra 25. mája 2018 označený za liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť [tu](#).

Liek Amvuttra obsahuje liečivo vutrisiran.

Ako sa liek Amvuttra používa?

Výdaj lieku Amvuttra je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s amyloidózou. Liečba sa má začať čo najskôr po stanovení diagnózy, aby sa zabránilo ďalšej progresii ochorenia.

Liek je dostupný vo forme naplnených injekčných striekačiek a podáva sa raz za tri mesiace formou podkožnej injekcie do brucha, stehna alebo nadlaktia. Pacienti si po príslušnom zaškolení môžu injekcie podávať sami, prípadne im liek po ich zaškolení môžu vpichovať ich opatrovatelia.

Pacienti majú počas liečby liekom Amvuttra denne užívať doplnky vitamínu A.

V prípade pacientov, ktorých polyneuropatia sa zhorší do 3. stupňa (keď pacient už nemôže chodiť), lekár môže pokračovať v liečbe, ak prínosy prevyšujú riziká.

K dispozícii sú obmedzené údaje o lieku Amvuttra u pacientov v závažných stupňoch kardiomyopatie (trieda IV podľa NYHA alebo trieda III podľa NYHA plus štádium III podľa NAC). Ak však pacienti

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



progredujú do týchto štádií počas užívania lieku Amvuttra, z týchto údajov vyplýva, že môžu pokračovať v liečbe.

Viac informácií o používaní lieku Amvuttra si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Amvuttra účinkuje?

U pacientov s ATTR amyloidózou je proteín nazývaný transtyretn, ktorý cirkuluje v krvi, chybný a ľahko sa rozkladá. Rozložený proteín tvorí amyloidné zhluky v tkanivách a orgánoch v celom tele vrátane okolia nervov a srdca, kde narušuje normálne fungovanie orgánu.

Liečivo lieku Amvuttra, vutrisiran, je malá interferujúca RNA (siRNA), krátka časť genetického materiálu vyrobeného v laboratóriu, ktorá sa viaže na genetický materiál buniek zodpovedných za tvorbu transtyretnu a blokuje ho. Tým sa zmierni produkcia chybného transtyretnu, čo vedie k obmedzenému vytváraniu amyloidov a zmierneniu príznakov ATTR amyloidózy.

Aké prínosy lieku Amvuttra boli preukázané v štúdiách?

V prvej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 164 pacientov s dedičnou ATTR amyloidózou a polyneuropatiou 1. alebo 2. stupňa, sa preukázalo, že liek Amvuttra je účinný pri spomaľovaní poškodenia nervov spôsobeného ochorením. V tejto štúdii sa liek Amvuttra neporovnával s iným liekom ani placebom.

Hlavným meradlom účinnosti bola zmena príznakov poškodenia nervov u pacientov meraná štandardnou stupnicou nazývanou mNIS+7, pričom nižšie skóre znamená zlepšenie a vyššie skóre znamená zhoršenie. Po 18 mesiacoch liečby sa skóre mNIS+ 7 znížilo v priemere približne o 0,5 bodu u pacientov, ktorým bol podávaný liek Amvuttra. To sa porovnávalo s priemerným zvýšením o 28 bodov u pacientov, ktorí dostávali placebo (zdanlivý liek) v inej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 225 pacientov, v ktorej sa porovnával liek Onpattro (ďalší liek proti dedičnej ATTR amyloidóze) s placebom.

V štúdii sa tiež preukázalo, že liečba liekom Amvuttra bola pri znížení hladiny transtyretnu prinajmenšom taká účinná ako liečba liekom Onpattro.

V druhej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 655 pacientov s dedičnou alebo nededičnou ATTR amyloidózou a kardiomyopatiou, sa preukázalo, že liek Amvuttra je účinný pri znižovaní rizika závažných kardiovaskulárnych problémov (ktoré ovplyvňujú srdce a krvný obeh) a úmrtia. V štúdii sa skúmal počet pacientov, ktorí v priebehu troch rokov zomreli, alebo sa u nich vyskytli opakujúce sa kardiovaskulárne udalosti, ako je hospitalizácia alebo zlyhávanie srdca, ktoré si vyžadovali naliehavú návštevu u lekára. U pacientov, ktorým sa podával liek Amvuttra, sa riziko kardiovaskulárnych problémov a úmrtia znížilo približne o 28 % v porovnaní s pacientmi, ktorým sa podávalo placebo (zdanlivý liek).

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Amvuttra?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Amvuttra a zoznam všetkých obmedzení sa nachádzajú v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Amvuttra (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú reakcia na mieste vpichu injekcie a zvýšená hladina alkalickéj fosfatázy a alaníntransaminázy (pečeňových enzýmov) v krvi.

Prečo bol liek Amvuttra povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Amvuttra je účinný pri spomaľovaní poškodenia nervov u pacientov s dedičnou formou ATTR amyloidózy s polyneuropatiou 1. alebo 2. stupňa. Preukázalo sa tiež, že znižuje riziko závažných kardiovaskulárnych problémov a úmrtia u pacientov s dedičnou alebo nededičnou ATTR amyloidózou s kardiomyopatiou. Pokiaľ ide o bezpečnosť, vedľajšie účinky sa považujú za zvládnutelné.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Amvuttra sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Amvuttra?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Amvuttra boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Amvuttra sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri používaní lieku Amvuttra sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Amvuttra

Lieku Amvuttra bolo 15. septembra 2022 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Amvuttra sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 05–2025