



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/721915/2022
EMA/H/C/005852

Amvuttra (*vutrisiran*)

Pregled zdravila Amvuttra in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Amvuttra in za kaj se uporablja?

Amvuttra je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje polinevropatije (poškodbe živcev), ki jo povzroča dedna transtiretinska amiloidoza (hATTR), tj. bolezen, pri kateri se v tkivih po telesu, vključno v živcih, kopičijo nenormalne beljakovine, imenovane amiloidi.

Zdravilo Amvuttra se uporablja pri odraslih bolnikih v prvih dveh stopnjah poškodbe živcev (1. stopnja, pri kateri so bolnikove noge sicer ošibe, vendar lahko ta hodi brez pomoči, in 2. stopnja, pri kateri bolnik lahko še vedno hodi, vendar pri tem potrebuje pomoč).

Dedna transtiretinska amiloidoza je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Amvuttra 25. maja 2018 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Zdravilo Amvuttra vsebuje učinkovino vutrisiran.

Kako se zdravilo Amvuttra uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Amvuttra je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z amiloidozo. Zdravljenje je treba začeti čim prej po postavljeni diagnozi, da se prepreči nadaljnje napredovanje bolezni.

Zdravilo je na voljo v obliki (subkutane) injekcije v podkožje trebuha, stegna ali nadlahti. Priporočeni odmerek je 25 mg enkrat na tri mesece. Bolniki morajo med zdravljenjem z zdravilom Amvuttra jemati tudi dodatke vitamina A.

Pri bolnikih, pri katerih bolezen napreduje do polinevropatije 3. stopnje, lahko zdravnik zdravljenje nadaljuje, če koristi odtehtajo tveganja.

Za več informacij glede uporabe zdravila Amvuttra glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

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



Kako zdravilo Amvuttra deluje?

Pri bolnikih z dedno transtiretinsko amiloidozo je beljakovina transtiretin v krvnem obtoku okvarjena in se hitro razgradi. Razgrajena beljakovina tvori amiloidne obloge v tkivih in organih po telesu, tudi okrog živcev, kar moti normalno delovanje organov.

Učinkovina v zdravilu Amvuttra, vutrisiran, je „majhna interferenčna RNK“ (siRNK), zelo kratek košček umetnega genetskega materiala, ki je bil zasnovan tako, da se pritrudi na genetski material celic, odgovornih za tvorbo transtiretina, in ga zavira. Tako se zmanjša tvorba transtiretina, kar upočasni nastajanje amiloidov in olajša simptome dedne transtiretinske amiloidoze.

Kakšne koristi zdravila Amvuttra so se pokazale v študijah?

V eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 164 bolnikov z dedno transtiretinsko amiloidozo s poškodbo živcev 1. ali 2. stopnje, se je zdravilo Amvuttra izkazalo za učinkovito pri upočasnitvi napredovanja poškodbe živcev, ki jo povzroča bolezen.

Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba poškodbe živcev, kot je bila izmerjena s standardno lestvico, imenovano „mNIS+7“, pri kateri nižja ocena pomeni izboljšanje, višja ocena pa poslabšanje poškodbe živcev. Po 18 mesecih zdravljenja se je ocena mNIS+7 pri uporabi zdravila Amvuttra v povprečju zmanjšala za približno 0,5 točke. To so primerjali s povprečnim povečanjem za 28 točk pri uporabi placeba (zdravila brez učinkovine) v drugi študiji, v kateri je sodelovalo 225 bolnikov in v kateri so zdravilo Onpattro (drugo zdravilo za zdravljenje dedne transtiretinske amiloidoze) primerjali s placebom.

Ta študija je prav tako pokazala, da je bilo zdravljenje z zdravilom Amvuttra pri zniževanju ravni transtiretina vsaj tako učinkovito kot zdravljenje z zdravilom Onpattro.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Amvuttra?

Najpogostejša neželena učinka zdravila Amvuttra (ki se lahko pojavita pri več kot 1 od 10 bolnikov) sta bolečina v okončinah (rokah in nogah) in artralgijska (bolečine v sklepih).

Za celoten seznam neželenih učinkov zdravila Amvuttra glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Amvuttra odobreno v EU?

Zdravilo Amvuttra se je izkazalo za učinkovito pri upočasnitvi napredovanja poškodbe živcev pri bolnikih z dedno transtiretinsko amiloidozo s poškodbo živcev 1. ali 2. stopnje. Kar zadeva varnost zdravila, veljajo njegovi neželeni učinki za obvladljive.

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Amvuttra večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Amvuttra?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Amvuttra upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Amvuttra stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Amvuttra, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Amvuttra

Nadaljnje informacije o zdravilu Amvuttra so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.