



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Amvuttra (*vutrisiran*)

Sammanfattning av Amvuttra och varför det är godkänt inom EU

Vad är Amvuttra och vad används det för?

Amvuttra är ett läkemedel som används för att behandla transtyretinamyloidos (ATTR), en sjukdom där amyloider (onormala proteiner) ansamlas i vävnader runt om i kroppen, bland annat runt nerverna och hjärtat.

Amvuttra ges till vuxna vars ATTR-amyloidos är ärftlig och som har polyneuropati (nervskada) i stadium 1 eller 2. Stadium 1 innebär att patienten har svaghet i benen men kan gå utan hjälp. Stadium 2 innebär att patienten kan gå men behöver hjälp.

Amvuttra ges också till vuxna med ärftlig eller icke-ärftlig ATTR-amyloidos som har kardiomyopati (skada på hjärtmuskeln).

ATTR-amyloidos är sällsynt och Amvuttra klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 25 maj 2018. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns [här](#).

Amvuttra innehåller den aktiva substansen vutrisiran.

Hur används Amvuttra?

Amvuttra är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med amyloidos. Behandlingen ska inledas så tidigt som möjligt efter diagnosen, för att undvika att sjukdomen förvärras ytterligare.

Läkemedlet finns som förfyllda sprutor och ges en gång var tredje månad genom injektion under huden i buken, låret eller överarmen. Patienter och vårdgivare kan själva injicera läkemedlet efter att ha fått lämplig utbildning.

Patienterna ska ta tillskott av vitamin A dagligen under behandlingen med Amvuttra.

För patienter vars polyneuropati utvecklas till stadium 3 (som innebär att patienten inte längre kan gå) kan läkaren välja att fortsätta behandlingen om fördelarna är större än riskerna.

Det finns begränsade data om Amvuttra hos patienter med avancerad kardiomyopati (NYHA klass IV eller NYHA klass III plus NAC stadium III). Om patienter progredierar till dessa stadier under tiden de tar Amvuttra tyder dock dessa data på att patienterna kan fortsätta med behandlingen.

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



För mer information om hur du använder Amvuttra, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Amvuttra?

Hos patienter med ATTR-amyloidos cirkulerar proteinet transtyrelin i blodet. Detta protein är defekt och bryts lätt sönder. Det sönderbrutna proteinet bildar amyloidavlagringar i vävnader och organ runt om i kroppen, bland annat runt nerverna och hjärtat, där det stör normal organfunktion.

Den aktiva substansen i Amvuttra, vutrisiran, är en liten interfererande RNA (siRNA), det vill säga ett kort stycke genetiskt material framställt i ett laboratorium, som binder till och blockerar det genetiska materialet i de celler som ansvarar för tillverkningen av transtyrelin. Detta leder till minskad produktion av defekt transtyrelin, vilket minskar bildandet av amyloider och lindrar symtomen på ATTR-amyloidos.

Vilka fördelar med Amvuttra har visats i studierna?

I en första huvudstudie på 164 patienter med ärftlig ATTR-amyloidos och polyneuropati i stadium 1 eller 2 visade sig Amvuttra vara effektivt för att fördröja den nervskada som orsakas av sjukdomen. I denna studie jämfördes inte Amvuttra med något annat läkemedel eller placebo.

Huvudeffektmåttet var en förändring av patienternas symtom på nervskada, vilket mättes med hjälp av standardskalan mNIS+7, där en lägre poäng innebär en förbättring och en högre poäng innebär en försämring. Efter 18 månaders behandling minskade mNIS+7-poängen med i genomsnitt cirka 0,5 poäng hos de patienter som fick Amvuttra. Detta jämfördes med en genomsnittlig ökning på 28 poäng hos de patienter som fick placebo (overksam behandling) i en annan studie på 225 patienter där Onpattro (ett annat läkemedel mot ärftlig ATTR-amyloidos) jämfördes med placebo.

Studien visade också att behandling med Amvuttra var minst lika effektiv som behandling med Onpattro när det gällde att minska transtyrelinnivåerna.

I en andra huvudstudie, som omfattade 655 patienter med ärftlig eller icke-ärftlig ATTR-amyloidos och kardiomyopati, visade sig Amvuttra vara effektivt för att minska risken för allvarliga kardiovaskulära problem (som påverkar hjärtat och blodcirkulationen) och dödsfall. I studien tittade man på antalet patienter som under en period på tre år avled eller drabbades av återkommande kardiovaskulära händelser såsom inläggning på sjukhus eller hjärtsvikt som krävde akutvård. Hos de patienter som fick Amvuttra minskade risken för kardiovaskulära problem och dödsfall med omkring 28 procent, jämfört med de patienter som fick placebo (overksam behandling).

Vilka är riskerna med Amvuttra?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Amvuttra finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Amvuttra (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är reaktion vid injektionsstället och förhöjda nivåer av alkalisk fosfatase och alanintransaminas i blodet (leverenzymmer).

Varför är Amvuttra godkänt i EU?

Amvuttra visade sig vara effektivt för att fördröja nervskada hos patienter med ärftlig ATTR-amyloidos med polyneuropati i stadium 1 eller 2. Det visade sig också minska risken för allvarliga kardiovaskulära problem och dödsfall hos patienter med ärftlig eller icke-ärftlig ATTR-amyloidos med kardiomyopati. Vad gäller säkerheten anses biverkningarna vara hanterbara.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Amvuttra är större än riskerna och att Amvuttra kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Amvuttra?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Amvuttra har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Amvuttra kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Amvuttra utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Amvuttra

Den 15 september 2022 beviljades Amvuttra ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Amvuttra finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/amvuttra.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 05-2025.