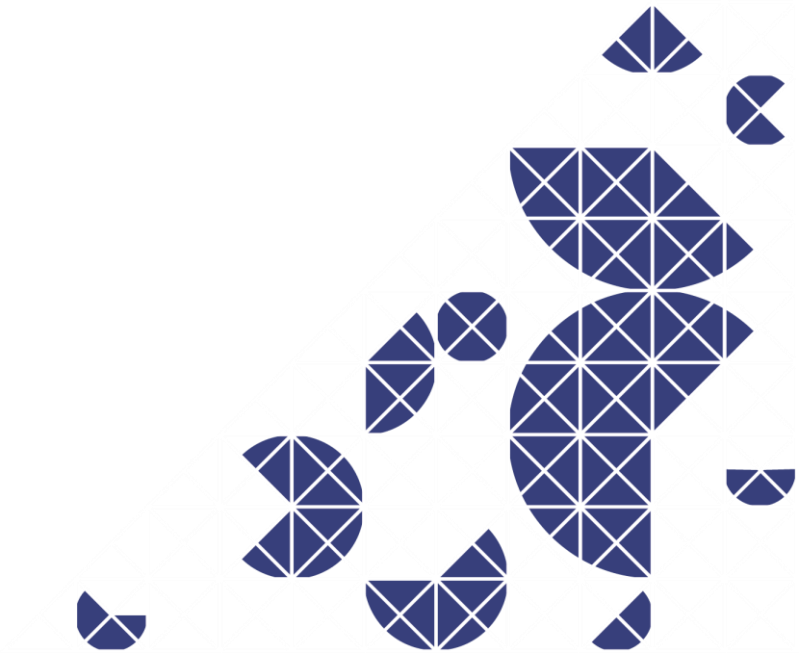
Národný inštitút
pre hodnotu
a technológie
v zdravotníctve

Liek Amvuttra – Informácie pre verejnosť o odbornom hodnotení (laický sumár)

Číslo hodnotenia:
L245

Hodnotenie publikované dňa:
27.10.2026

Link na zverejnené hodnotenie:
https://niho.sk/publikovane-projekty/



Aký liek sme hodnotili

Hodnotili sme liek Amvuttra, ktorý obsahuje liečivo vutrisiran. Liek je v Európskej únii povolený na liečbu transtyretínovej amyloidózy (TA) – ojedinelého a závažného ochorenia, pri ktorom sa určitá bielkovina vytváraná predovšetkým v pečeni (transtyretín) rozpadá a vytvára nerozpustné vlákna nazývané amyloidy. Tie sa postupne ukladajú v rôznych tkanivách a orgánoch, najmä v srdci a periférnych nervoch, teda v nervoch, ktoré nie sú súčasťou centrálnej nervovej sústavy tvorenej mozgom a miechou – periférnymi nervami sú napríklad nervy v končatinách. Ochorenie tak môže viesť k zlyhávaniu srdca aj k poškodeniu periférnych nervov (polyneuropatii).

Liek Amvuttra je v EÚ povolený na liečbu viacerých typov tohto ochorenia u dospelých pacientov. Pacienti môžu mať dedičnú formu TA a poškodenie periférnych nervov 1. alebo 2. stupňa.
Pacienti tiež môžu mať dedičnú alebo nededičnú formu TA, pri ktorej je poškodený srdcový sval – tento stav sa nazýva kardiomyopatia. Na určenie stupňa závažnosti poškodenia srdca sa používa klasifikácia nazývaná NYHA. V nej sú pacienti rozdelení do štyroch funkčných tried (NYHA I až IV) podľa toho, ako veľmi ich príznaky poškodenia srdca (dýchavičnosť, únava, búšenie srdca, bolesť na hrudníku) obmedzujú v bežnej fyzickej aktivite. Pacient v triede NIHA I nemá obmedzenú fyzickú aktivitu, pacient v triede NIHA II má mierne obmedzenie fyzickej aktivity, pacient v triede NIHA III má výrazné obmedzenie fyzickej aktivity a pacient v triede NIHA IV má príznaky srdcového zlyhávania aj vtedy, keď je v úplnom pokoji.

My sme hodnotili použitie lieku Amvuttra na liečbu dedičnej alebo nededičnej TA u dospelých pacientov s kardiomyopatiou, ktorí sú v triedach NYHA I až III.

Prečo sme liek hodnotili

O povolení (registrácii) lieku v EÚ rozhoduje Európska komisia na základe stanoviska Európskej agentúry pre lieky (EMA). Povolenie lieku znamená, že lekár môže liek predpísať pacientom, pre ktorých je schválený. Povolenie lieku neznamená, že liek sa platí zo zdravotného poistenia. Zo zdravotného poistenia sa štandardne platia lieky, ktoré sú kategorizované. O kategorizácii rozhoduje Ministerstvo zdravotníctva Slovenskej republiky na základe žiadosti farmaceutickej spoločnosti (držiteľa registrácie lieku). Podmienky kategorizácie sú dané zákonom. Medzi tieto podmienky patrí účinnosť a bezpečnosť lieku, prínos lieku pri znižovaní chorobnosti a úmrtnosti, odporúčané postupy pri liečbe, náklady na liek, aj porovnanie prínosov a nákladov lieku s inými možnosťami liečby, ktorá sa na Slovensku používa a platí zo zdravotného poistenia.

Pri kategorizácii lieku ministerstvo určí aj to, pre akých pacientov (pri akých indikáciách) bude liek hradený. Môže sa stať, že liek je povolený na viaceré indikácie a zo zdravotného poistenia sú hradené iba niektoré z nich. V takom prípade môže farmaceutická spoločnosť požiadať o rozšírenie úhrady na ďalšiu indikáciu. Tak to bolo aj pri lieku Amvuttra. Tento liek je už v súčasnosti kategorizovaný. Uhrádza sa dospelým pacientom s dedičnou formou TA a poškodením periférnych nervov (polyneuropatiou) 1. alebo 2. stupňa.

Našou úlohou bolo vyhodnotiť, či Amvuttra spĺňa podmienky kategorizácie aj pri použití lieku na liečbu dedičnej alebo nededičnej TA u dospelých pacientov s kardiomyopatiou, ktorí sú v triedach NYHA I až III. Výsledkom našej práce je odborné hodnotenie s odporúčaním, ktoré je podkladom pre

ministerstvo. Ministerstvo nie je naším hodnotením viazané. Môže liek kategorizovať aj v prípade, ak sme to neodporúčali. A naopak, môže liek nekategorizovať aj v prípade, ak sme to odporúčali.

Ako sme liek hodnotili

Vychádzali sme z údajov od farmaceutickej spoločnosti, z výsledkov klinického skúšania, z odporúčaných postupov pri liečbe daného ochorenia aj z informácií, ktoré nám poskytli slovenskí odborníci – špecialisti na liečbu kardiologických ochorení.

Preskúmali sme, aký je prínos lieku a aké sú náklady spojené s jeho použitím. Zistili sme, že pacienti s týmto ochorením sú na Slovensku štandardne liečení iným liekom (Vyndaqel). Prínosy a náklady lieku Amvuttra sme porovnali s prínosmi a nákladmi tejto štandardnej liečby. Takáto štandardná liečba, s ktorou sa nový liek porovnáva, sa v našom hodnotení nazýva komparátor.

K akému záveru sme dospeli

Ministerstvu sme odporúčali liek Amvuttra kategorizovať aj pre dospelých pacientov s dedičnou alebo nededičnou TA s kardiomyopatiou, ktorí sú v triedach NYHA I až III, ak farmaceutická spoločnosť zníži navrhovanú cenu lieku. Liek má podobnú účinnosť a bezpečnosť ako štandardná liečba. Náklady na liečbu liekom Amvuttra sú ale vyššie ako náklady na štandardnú liečbu.

Podľa zákona platí, že do kategorizácie je možné zaradiť iba liek, ktorý má väčší alebo podobný prínos ako štandardná liečba. Liek, ktorý má väčší prínos, môže mať aj väčšie náklady. Liek, ktorý má podobný prínos, musí mať nižšie náklady ako štandardná liečba.

Ako sme využili pacientsky vstup

Do každého nášho hodnotenia sa môže zapojiť pacientska organizácia, ktorá zastupuje pacientov s daným ochorením. Zapojenie sa uskutočňuje zaslaním vyplneného dotazníka – vstupu pacientskej organizácie. Do hodnotenia lieku Amvuttra sa nezapojila žiadna pacientska organizácia.

Aký je ďalší postup

Farmaceutická spoločnosť môže poslať svoje pripomienky voči nášmu hodnoteniu. Tieto pripomienky preskúmame a vypracujeme k nim naše stanovisko. Potom zasadne kategorizačná komisia, zložená zo zástupcov lekárov, pacientov, zdravotných poisťovní a ministerstva. Jedným z členov komisie je aj zástupca NIHO, ktorý ale nemá hlasovacie právo. Komisia ministerstvu odporučí, ako má o lieku rozhodnúť. Konečné rozhodnutie je na ministerstve.
Rozhodnutie ministerstva bude zverejnené na kategorizačnom portáli v konaní o lieku Amvuttra: https://kategorizacia.mzsr.sk/Lieky/Common/Details/39360

Kde sú dostupné ďalšie informácie

- **Odborné hodnotenie lieku Amvuttra NIHO**: https://niho.sk/publikovane-projekty/

- **Prehľad o lieku Amvuttra na webe Európskej agentúry pre lieky (EMA):** https://www.ema.europa.eu/sk/documents/overview/amvuttra-epar-medicine-overview_sk.pdf

- **Informácie o lieku Amvuttra na webe Štátneho ústavu pre kontrolu liečiv (ŠÚKL)**: https://www.sukl.sk/amvuttra-25-mg-injekcny-roztok-v-naplnenej-injekcnej-striekacke-2040e

Aké právne predpisy upravujú náš postup

- **Zákon č. 363/2011 Z. z.** o rozsahu a podmienkach úhrady liekov, zdravotníckych pomôcok a dietetických potravín na základe verejného zdravotného poistenia a o zmene a doplnení niektorých zákonov (kritériá kategorizácie sú uvedené v § 7 a § 90)
- **Zákon č. 358/2021 Z. z.** o Národnom inštitúte pre hodnotu a technológie v zdravotníctve a o zmene a doplnení niektorých zákonov
- **Vyhláška Ministerstva zdravotníctva SR č. 298/2022 Z. z.**, ktorou sa ustanovujú podrobnosti výpočtu príslušného násobku hrubého domáceho produktu pre stanovenie prahovej hodnoty posudzovaného lieku
- **Vyhláška Ministerstva zdravotníctva SR č. 422/2011 Z. z.** o podrobnostiach farmako-ekonomického rozboru lieku