



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332063/2024  
EMA/H/C/006191

## Adzynma (rADAMTS13)

### Общ преглед на Adzynma и основания за разрешаване в ЕС

Adzynma е лекарство, което се използва за лечение на деца и възрастни с вродена тромботична тромбоцитопенична пурпура (сТТР) — наследствено заболяване, причинено от мутации (промени) в *гена* ADAMTS13. Пациентите с това заболяване имат остри епизоди, при които се образува тромбоза (кръвни съсиреци) в малките кръвоносни съдове в цялото тяло. Съсиреците могат да възпрепятстват притока на кръв към органите и да причинят увреждане. Увеличеното съсирване води до недостиг на тромбоцити в кръвта (тромбоцитопения), което увеличава риска от кръвоизливи. Освен това пациентите имат малки подкожни кръвоизливи, които се появяват като пурпурни петна (пурпура). Също така под влиянието на сТТР организъмът разгражда червените кръвни клетки по-бързо, отколкото може да ги произвежда, което намалява нивото им (микроангиопатична хемолитична анемия) със симптоми, включващи умора, слабост и задых.

сТТР се счита за рядко заболяване и Adzynma е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 3 декември 2008 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на ЕМА.

Adzynma съдържа активното вещество rADAMTS13.

### Как се използва Adzynma?

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се започне от лекар с опит в областта на хематологичните (свързани с кръвта) заболявания.

Adzynma се прилага под формата на венозна инжекция. За предотвратяване на епизоди на ТТР лекарственият продукт се прилага веднъж седмично или на всеки две седмици. За лечение при нужда на остри епизоди на ТТР (характеризирани се с тромбоцитопения и микроангиопатична хемолитична анемия), лекарството се прилага веднъж дневно. Лечението на остри епизоди трябва да започне в първия ден на епизода и да бъде завършено 2 дни след неговото приключване.

Пациентите или лицата, полагащи грижи за тях, могат сами да инжектират Adzynma, след като са били обучени за това.

За повече информация относно употребата на Adzynma вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.



## Как действа Adzynma?

Пациентите с сТТР имат твърде малко ензим (вид протеин), наречен ADAMTS13, в кръвта си. Този ензим разгражда големи протеини в кръвта, наречени фактор на фон Вилебранд. Когато тези големи протеини не се отстранят, те се слепват с тромбоцитите в кръвта и образуват кръвни съсиреци. Активното вещество в Adzynma е версия на ADAMTS13 (rADAMTS13), която се произвежда в лаборатория. То заменя липсващия ензим ADAMTS13 и разгражда фактора на фон Вилебранд, като по този начин предотвратява образуването на кръвни съсиреци, посиняване, кървене и анемия.

## Какви ползи от Adzynma са установени в проучванията?

Ползите от Adzynma като превантивно лечение за епизоди на ТТР са оценени в едно основно проучване, обхващащо 48 деца и възрастни на възраст до 70 години с тежка форма на сТТР. Проучването е разделено на три периода от по 6 месеца. През първия период на пациентите е приложен Adzynma или обичайното им лечение (често прясно замразена плазма) за предотвратяване на епизоди на ТТР. В зависимост от предишната схема на лечение те получават лечение веднъж седмично или на всеки две седмици. През втория период пациентите, приемащи за първи път обичайното си лечение, преминават към Adzynma, а пациентите, на които първоначално се прилага Adzynma, вече получават обичайното си лечение. През третия период всички пациенти приемат Adzynma.

Един остър ТТР епизод възниква при групата пациенти, на които е приложено обичайното лечение по време на проучването, а в групата, приемаща Adzynma няма нито един случай. Тъй като този брой е малък, не е възможно да се направи заключение дали Adzynma може да лекува остри епизоди на ТТР. Същевременно в проучването е показано, че други симптоми на заболяването, като тромбоцитопения и събития на микроангиопатична хемолитична анемия, се наблюдават по-рядко при пациентите, приемащи Adzynma, отколкото при пациентите, на които се прилага обичайното им лечение.

Проучването обхваща също 5 пациенти с сТТР, на които се прилага Adzynma при нужда или обичайното им лечение, когато имат остър епизод на ТТР. В проучването един остър епизод на ТТР е лекуван успешно с Adzynma и един с обичайното лечение на пациента. И двата остри епизода са овладени в рамките на 3 дни след лечението.

## Какви са рисковете, свързани с Adzynma?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Adzynma вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Adzynma (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са главоболие, диария, замаяност, инфекции на горните дихателни пътища (носа и гърлото), гадене (позиви за повръщане) и мигрена.

## Защо Adzynma е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на одобрението не е било налично задоволително лечение на пациенти с сТТР. Adzynma има за цел да замени липсващия ADAMTS13 с подобна версия на този ензим, произвеждан в лаборатория. Въпреки че данните от проучванията не предоставят достатъчно доказателства, че лекарството е ефективно за предотвратяване на остри епизоди на ТТР, има налична информация от лабораторни проучвания, знания за поведението на лекарството в организма и данни, показващи намаляване на симптомите на сТТР при пациентите, приемащи

Adzynma. Всичко това показва, че лечението може да бъде ефективно. Нежеланите реакции при Adzynma се считат за приемливи.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Adzynma са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Adzynma е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Adzynma поради много малкия брой остри събития на ТТР при пациенти с сТТР. Фирмата трябва да предостави допълнителни данни за Adzynma. Тя трябва да осигури пълните резултати от 3 проучвания относно безопасността и ефективността на Adzynma. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация.

### **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Adzynma?**

Фирмата, която предлага Adzynma, ще предостави ръководство за медицинските специалисти и сигнална карта за пациентите, включително информация за това как да се овладеят алергичните реакции към Adzynma, когато лекарството се инжектира в домашни условия.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Adzynma, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Adzynma непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Adzynma, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

### **Допълнителна информация за Adzynma:**

Допълнителна информация за Adzynma можете да намерите на уебсайта на Агенцията:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma).