



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332064/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Přehled pro přípravek Adzynma a proč byl přípravek registrován v EU

Adzynma je léčivý přípravek, který se používá k léčbě dětí a dospělých s vrozenou trombotickou trombocytopenickou purpurou (cTTP), což je dědičné onemocnění způsobené mutacemi (změnami) v genu *ADAMTS13*. Pacienti s tímto onemocněním trpí akutními epizodami, při kterých dochází k tvorbě trombózy (krevních sraženin) v malých krevních cévách v celém těle. Tyto sraženiny mohou bránit průtoku krve do orgánů a způsobit zdravotní problémy. Zvýšená srážlivost krve vede k nedostatku krevních destiček v krvi (trombocytopenii), což zvyšuje riziko krvácení. U pacientů dochází také k malým krvácením pod kůží, které provází tvorba fialových skvrn (purpura). cTTP také způsobuje, že červené krvinky se v těle rozkládají rychleji, než se vytváří, což vede ke snížení hladiny červených krvinek (mikroangiopatické hemolytické anemii) s příznaky, jako je únava, slabost a dušnost.

cTTP je vzácné onemocnění a přípravek Adzynma byl dne 3. prosince 2008 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Adzynma obsahuje léčivou látku rADAMTS13.

Jak se přípravek Adzynma používá?

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit lékař, který má zkušenosti s hematologickými onemocněními (onemocněními souvisejícími s krví).

Přípravek Adzynma se podává formou injekce do žíly. V rámci prevence epizod trombotické trombocytopenické purpury (TTP) se podává jednou týdně nebo jednou za dva týdny. V rámci léčby akutních epizod TTP (charakterizovaných trombocytopenií a mikroangiopatickou hemolytickou anemií) dle potřeby se přípravek podává jednou denně, přičemž léčba akutních epizod by měla být zahájena první den epizody a skončit dva dny po jejím odeznění.

Po zaškolení mohou pacienti nebo jejich pečovatelé přípravek Adzynma podávat sami.

Více informací o používání přípravku Adzynma naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Adzynma působí?

Pacienti s cTTP mají v krvi příliš málo enzymu (typu bílkoviny) zvaného ADAMTS13. Tento enzym v krvi rozkládá velké bílkoviny zvané von Willebrandův faktor. Pokud tyto velké bílkoviny nejsou odstraněny, shlukují se s krevními destičkami a vytvářejí krevní sraženiny. Léčivá látka v přípravku Adzynma je verze ADAMTS13 (rADAMTS13), která se vyrábí v laboratoři. Nahrazuje chybějící enzym ADAMTS13 a rozkládá von Willebrandův faktor, čímž zabraňuje tvorbě krevních sraženin, tvorbě modřin, krvácení a anemii.

Jaké přínosy přípravku Adzynma byly prokázány v průběhu studií?

Přínosy přípravku Adzynma jako preventivní léčby epizod TTP byly hodnoceny v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 48 dětí a dospělých ve věku do 70 let se závažnou cTTP. Studie byla rozdělena do tří období o délce 6 měsíců. Během prvního období byl pacientům podáván buď přípravek Adzynma, nebo jejich obvyklá léčba (často čerstvě zmražená plazma) k prevenci epizod TTP. V závislosti na předchozím léčebném schématu podstupovali léčbu buď jednou týdně, nebo jednou za dva týdny. Ve druhém období byli pacienti, kterým byla nejprve podávána obvyklá léčba, převedeni na přípravek Adzynma a pacienti, kterým byl nejprve podáván přípravek Adzynma, byli převedeni na jejich obvyklou léčbu. Během třetího období užívali všichni pacienti přípravek Adzynma.

Ve skupině pacientů, kterým byla během studie podávána obvyklá léčba, se vyskytla jedna epizoda akutní TTP. Ve skupině pacientů, kterým byl podáván přípravek Adzynma, nebyla zaznamenána žádná taková epizoda. Vzhledem k nízkému počtu těchto epizod nebylo možné dospět k závěru, zda je přípravek Adzynma schopen léčit akutní epizody TTP. Studie však prokázala, že jiné příznaky tohoto onemocnění, jako je trombocytopenie a mikroangiopatická hemolytická anemie, byly u pacientů léčených přípravkem Adzynma pozorovány méně často než u pacientů, kterým byla podávána obvyklá léčba.

Studie rovněž zahrnovala 5 pacientů s cTTP, kterým byl v okamžiku, kdy se u nich vyskytla akutní epizoda TTP, podán přípravek Adzynma dle potřeby, nebo jejich obvyklá léčba. V této studii byla úspěšně léčena jedna akutní epizoda TTP pomocí přípravku Adzynma a druhá pomocí obvyklé léčby. Obě akutní epizody byly vyřešeny do 3 dnů po léčbě.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Adzynma?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Adzynma je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Adzynma (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou bolest hlavy, průjem, závratě, infekce horních cest dýchacích (nosu a hrdla), nauzea (pocit na zvracení) a migréna.

Na základě čeho byl přípravek Adzynma registrován v EU?

V době schválení nebyla u pacientů s cTTP k dispozici žádná uspokojivá léčba. Cílem přípravku Adzynma je nahradit chybějící enzym ADAMTS13 podobnou verzí tohoto enzymu vyrobeného v laboratoři. Ačkoli údaje ze studií neposkytují dostatečné důkazy o účinnosti léčivého přípravku při prevenci akutních epizod TTP, jsou k dispozici informace z laboratorních studií, poznatky o tom, jak se léčivý přípravek chová v těle, a údaje prokazující zmírnění příznaků cTTP u pacientů, kterým byl podán přípravek Adzynma. Všechny tyto skutečnosti naznačují, že léčba by mohla být účinná. Nežádoucí účinky přípravku Adzynma byly považovány za přijatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Adzynma převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Adzyna byl registrován „za výjimečných okolností“, neboť vzhledem k velmi nízkému počtu akutních epizod TTP u pacientů s cTTP nebylo možné o přípravku Adzyna získat úplné informace. Společnost musí poskytnout další údaje o přípravku Adzyna. Musí předložit úplné výsledky tří studií bezpečnosti a účinnosti přípravku Adzyna. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Adzyna?

Společnost, která přípravek Adzyna dodává na trh, poskytne příručku pro zdravotnické pracovníky a kartu pro pacienty s informacemi o tom, jak zvládat alergické reakce na přípravek Adzyna při jeho injekčním podání v domácím prostředí.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Adzyna, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Adzyna průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Adzyna jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Adzyna

Další informace o přípravku Adzyna jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzyna.