



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332065/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

En oversigt over Adzynma, og hvorfor det er godkendt i EU

Adzynma er et lægemiddel, der anvendes til behandling af børn og voksne med medfødt trombotisk trombocytopenisk purpura (cTTP), en arvelig sygdom, der skyldes mutationer (forandringer) i *ADAMTS13*-genet. Patienter med denne sygdom har akutte episoder, hvor der dannes trombose (blodpropper) i små blodkar i hele kroppen. Blodpropperne kan hæmme blodtilførslen til organerne og forårsage skade. Den øgede størkning medfører mangel på blodplader i blodet (trombocytopeni), hvilket øger risikoen for blødninger. Patienterne får også små blødninger under huden, der ligner lilla prikker (purpura). cTTP får også kroppen til at nedbryde de røde blodlegemer hurtigere, end kroppen selv kan danne dem, hvilket sænker indholdet af røde blodlegemer (mikroangiopatisk hæmolytisk anæmi) og dermed giver symptomer som bl.a. træthed, svaghed og åndenød.

cTTP er sjælden, og Adzynma blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 3. december 2008. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes på EMA's [websted](#).

Adzynma indeholder det aktive stof rADAMTS13.

Hvordan anvendes Adzynma?

Lægemidlet fås kun på recept, og behandlingen bør iværksættes af en læge, der har erfaring med blodsygdomme (hæmatologiske sygdomme).

Adzynma gives som en injektion i en vene. Til forebyggelse af TTP-episoder gives det én gang om ugen eller hver anden uge. Til behandling efter behov af akutte TTP-episoder (kendetegnet ved trombocytopeni og mikroangiopatisk hæmolytisk anæmi) gives det én gang dagligt. Behandlingen af akutte episoder bør begynde på den første dag af episoden og slutte to dage efter, at den er endt.

Patienterne eller deres omsorgspersoner kan selv injicere Adzynma, når de er blevet oplært i det.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Adzynma, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Adzynma?

Patienter med cTTP har for lidt af et enzym (en type protein), der kaldes ADAMTS13, i blodet. Dette enzym nedbryder store proteiner i blodet kaldet von Willebrand-faktor. Når disse store proteiner ikke fjernes, klumper de sammen med blodplader og danner blodpropper. Det aktive stof i Adzynma er en

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



version af ADAMTS13 (rADAMTS13), der fremstilles i et laboratorium. Det erstatter det manglende ADAMTS13-enzym og nedbryder von Willebrand-faktoren og forebygger dermed dannelse af blodpropper, blå mærker, blødning og anæmi.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Adzynma?

Fordelene ved Adzynma som forebyggende behandling mod TTP-episoder blev vurderet i et hovedstudie, der omfattede 48 børn og voksne op til 70-årsalderen med svær cTTP. Studiet var opdelt i tre perioder på 6 måneder. I den første periode fik patienterne enten Adzynma eller deres sædvanlige behandling (ofte frisk, frosset plasma) for at forebygge TTP-episoder. Afhængigt af deres tidligere behandlingsforløb fik de behandling enten én gang om ugen eller hver anden uge. I den anden periode skiftede de patienter, der først fik deres sædvanlige behandling, til Adzynma, og de, der først fik Adzynma, fik nu deres sædvanlige behandling. I den tredje periode fik alle patienter Adzynma.

Én akut TTP-episode indtraf i den gruppe af patienter, der fik deres sædvanlige behandling under studiet, og ingen i den gruppe, der fik Adzynma. Da dette antal var lavt, var det ikke muligt at konkludere, om Adzynma kan behandle akutte TTP-episoder. Studiet viste dog, at andre symptomer på sygdommen som f.eks. trombocytopeni og mikroangiopatisk hæmolytisk anæmi forekom mindre hyppigt hos patienter, der fik Adzynma, end hos patienter, der fik deres sædvanlige behandling.

Studiet omfattede også 5 patienter med cTTP, som fik Adzynma efter behov eller deres sædvanlige behandling, når de havde en akut TTP-episode. I studiet blev én akut TTP-episode behandlet vellykket med Adzynma og én med patientens sædvanlige behandling. Begge akutte episoder var overstået inden for 3 dages behandling.

Hvilke risici er der forbundet med Adzynma?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Adzynma fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Adzynma (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er bl.a. hovedpine, diarré, svimmelhed, infektioner i de øvre luftveje (næse og hals), kvalme og migræne.

Hvorfor er Adzynma godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet var der ingen tilfredsstillende behandling for patienter med cTTP. Adzynma skal erstatte det manglende ADAMTS13 med en tilsvarende udgave af dette enzym, der er laboratoriefremstillet. Studiedataene giver ikke tilstrækkelig evidens for, at lægemidlet er effektivt til at forebygge akutte TTP-episoder, men der er oplysninger fra laboratoriestudier, kendskab til, hvordan lægemidlet opfører sig i kroppen, og data, der viser en reduktion af cTTP-symptomerne hos patienter, der tager Adzynma. Alt dette tyder på, at behandlingen kan være effektiv. Bivirkningerne ved Adzynma blev anset for at være acceptable.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Adzynma opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Adzynma er blevet godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det ikke har været muligt at indhente fuldstændige oplysninger om Adzynma på grund af det meget lave antal akutte TTP-hændelser hos cTTP-patienter. Virksomheden skal fremlægge yderligere data om Adzynma. Den skal fremlægge de fuldstændige resultater af 3 studier af Adzynmas sikkerhed og virkning. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Adzynma anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Adzynma, skal udlevere en vejledning til sundhedspersoner og et patientkort med information om, hvordan man håndterer allergiske reaktioner over for Adzynma, når lægemidlet injiceres hjemme.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Adzynma anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Adzynma løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Adzynma vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Adzynma

Yderligere information om Adzynma findes på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.