



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332066/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Übersicht über Adzynma und warum es in der EU zugelassen ist

Adzynma ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Kindern und Erwachsenen mit kongenitaler (angeborener) thrombotisch-thrombozytopenischer Purpura (cTTP), einer Erbkrankheit, die durch Mutationen (Veränderungen) im ADAMTS13-Gen verursacht wird. Patienten mit dieser Krankheit leiden unter akuten Episoden, bei denen sich Thrombosen (Blutgerinnsel) in kleinen Blutgefäßen im gesamten Körper bilden. Die Gerinnseln können den Blutfluss in die Organe behindern und Schäden verursachen. Die erhöhte Blutgerinnung führt zu einem Mangel an Blutplättchen (Thrombozytopenie), was das Risiko für Blutungen erhöht. Die Patienten haben zudem kleine Blutungen unter der Haut, die als violette Flecken (Purpura) auftreten. cTTP führt außerdem dazu, dass der Körper die roten Blutkörperchen schneller abbaut, als er sie bilden kann, wodurch die Anzahl der roten Blutkörperchen (mikroangiopathische hämolytische Anämie) verringert wird. Dabei treten Symptome wie Ermüdung, Schwäche und Kurzatmigkeit auf.

cTTP ist selten, und Adzynma wurde am 3. Dezember 2008 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Adzynma enthält den Wirkstoff rADAMTS13.

Wie wird Adzynma angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem in hämatologischen Erkrankungen (Blutkrankheiten) erfahrenen Arzt eingeleitet werden.

Adzynma wird als Injektion in eine Vene verabreicht. Zur Vorbeugung von TTP-Episoden wird es einmal wöchentlich oder alle zwei Wochen verabreicht. Zur Bedarfsbehandlung akuter TTP-Episoden (gekennzeichnet durch Thrombozytopenie und mikroangiopathische hämolytische Anämie) wird es einmal täglich verabreicht; die Behandlung akuter Episoden sollte am ersten Tag der Episode beginnen und zwei Tage nach Beendigung der Episode beendet werden.

Nach entsprechender Einweisung können Patienten bzw. ihre Betreuungspersonen Adzynma selbst injizieren.

Weitere Informationen zur Anwendung von Adzynma entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Adzynma?

Patienten mit cTTP weisen im Blut eine zu geringe Konzentration eines Enzyms (einer Art von Protein) auf, das als ADAMTS13 bezeichnet wird. Dieses Enzym baut große Proteine im Blut ab, die als von Willebrand-Faktor bezeichnet werden. Wenn diese großen Proteine nicht entfernt werden, klumpen sie mit Blutplättchen und bilden Blutgerinnsel. Der Wirkstoff in Adzynma ist eine Version von ADAMTS13 (rADAMTS13), die in einem Labor hergestellt wird. Er ersetzt das fehlende Enzym ADAMTS13 und baut den von Willebrand-Faktor ab und verhindert so die Bildung von Blutgerinnseln, blauen Flecken, Blutungen und Anämie.

Welchen Nutzen hat Adzynma in den Studien gezeigt?

Der Nutzen von Adzynma als präventive Behandlung von TTP-Episoden wurde in einer Hauptstudie untersucht, an der 48 Kinder und Erwachsene im Alter von bis zu 70 Jahren mit schwerer cTTP teilnahmen. Die Studie wurde in drei Phasen von jeweils sechs Monaten aufgeteilt. Während der ersten Phase erhielten die Patienten entweder Adzynma oder ihre übliche Behandlung (häufig frisches gefrorenes Plasma), um TTP-Episoden vorzubeugen. Je nach ihrem vorherigen Behandlungszeitplan erhielten sie entweder einmal wöchentlich oder alle zwei Wochen eine Behandlung. In der zweiten Phase wurden die Patienten, die zunächst ihre übliche Behandlung erhielten, auf Adzynma umgestellt, und die Patienten, die ursprünglich Adzynma erhalten hatten, erhielten jetzt ihre übliche Behandlung. In der dritten Phase erhielten alle Patienten Adzynma.

Eine akute TTP-Episode trat in der Gruppe der Patienten auf, die während der Studie ihre übliche Behandlung erhielten, und keine in der Gruppe, die Adzynma erhielt; da diese Zahl niedrig war, konnte nicht geschlussfolgert werden, ob Adzynma akute TTP-Episoden behandeln kann. Die Studie zeigte jedoch, dass andere Symptome der Erkrankung, wie z. B. Thrombozytopenie und mikroangiopathische hämolytische Anämie, bei Patienten, die Adzynma erhielten, weniger häufig beobachtet wurden als bei Patienten, die ihre übliche Behandlung erhielten.

An der Studie nahmen auch 5 Patienten mit cTTP teil, die Adzynma nach Bedarf oder ihre übliche Behandlung erhielten, wenn bei ihnen eine akute TTP-Episode auftrat. In der Studie wurde eine akute TTP-Episode erfolgreich mit Adzynma und eine mit der üblichen Behandlung des Patienten behandelt. Beide akuten Episoden klangen innerhalb von 3 Tagen nach der Behandlung ab.

Welche Risiken sind mit Adzynma verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Adzynma ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Adzynma (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Kopfschmerzen, Durchfall, Schwindel, Infektionen der oberen Atemwege (Nase und Rachen), Nausea (Übelkeit) und Migräne.

Warum wurde Adzynma in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung war für Patienten mit cTTP keine zufriedenstellende Behandlung verfügbar. Adzynma soll das fehlende Enzym ADAMTS13 durch eine ähnliche Version dieses Enzyms ersetzen, das im Labor hergestellt wurde. Obwohl die Studiendaten keine ausreichende Evidenz dafür liefern, dass das Arzneimittel bei der Vorbeugung akuter TTP-Episoden wirksam ist, liegen Informationen aus Laborstudien, Erkenntnisse über das Verhalten des Arzneimittels im Körper sowie Daten vor, die eine Verringerung der cTTP-Symptome bei Patienten unter Adzynma zeigen. Dies alles

deutet darauf hin, dass die Behandlung wirksam sein könnte. Die Nebenwirkungen von Adzynma wurden als akzeptabel erachtet.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Adzynma gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Adzynma wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der sehr geringen Anzahl akuter TTP-Ereignisse bei cTTP-Patienten nicht möglich war, vollständige Informationen über Adzynma zu erhalten. Das Unternehmen muss weitere Daten zu Adzynma sowie die vollständigen Ergebnisse von drei Studien zur Sicherheit und Wirksamkeit von Adzynma vorlegen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Adzynma ergriffen?

Das Unternehmen, das Adzynma in Verkehr bringt, wird einen Leitfaden für Angehörige der Heilberufe und eine Informationskarte für Patienten bereitstellen, die Informationen zum Umgang mit allergischen Reaktionen auf Adzynma enthält, wenn das Arzneimittel zu Hause injiziert wird.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Adzynma, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Adzynma kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Adzynma werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Adzynma

Weitere Informationen zu Adzynma finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.