



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332067/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Ανασκόπηση του Adzynma και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Το Adzynma είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία παιδιών και ενηλίκων με συγγενή θρομβωτική θρομβοκυτταροπενική πορφύρα (cTTP), μια κληρονομική νόσο που προκαλείται από μεταλλάξεις (αλλαγές) στο γονίδιο ADAMTS13. Οι ασθενείς που πάσχουν από την εν λόγω νόσο παρουσιάζουν οξέα επεισόδια θρόμβωσης, κατά τα οποία θρόμβοι αίματος σχηματίζονται σε μικρά αιμοφόρα αγγεία σε ολόκληρο τον οργανισμό τους. Οι θρόμβοι μπορούν να παρεμποδίσουν τη ροή του αίματος στα όργανα και να προκαλέσουν βλάβες. Η αυξημένη πήξη οδηγεί σε έλλειψη αιμοπεταλίων στο αίμα (θρομβοκυτταροπενία), αυξάνοντας τον κίνδυνο αιμορραγιών. Οι ασθενείς παρουσιάζουν επίσης μικρές αιμορραγίες κάτω από το δέρμα που εμφανίζονται ως πορφυρές κηλίδες. Η cTTP προκαλεί επίσης τη διάσπαση των ερυθρών αιμοσφαιρίων στον οργανισμό ταχύτερα από ό,τι μπορεί να τα παράγει ο οργανισμός, μειώνοντας τον αριθμό των ερυθρών αιμοσφαιρίων στο αίμα (μικροαγγειοπαθητική αιμολυτική αναιμία), με συμπτώματα όπως κόπωση, αδυναμία και δύσπνοια.

η cTTP είναι «σπάνια» νόσος και το Adzynma χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 3 Δεκεμβρίου 2008. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Adzynma περιέχει τη δραστική ουσία rADAMTS13.

Πώς χρησιμοποιείται το Adzynma;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με πείρα σε αιματολογικές (που σχετίζονται με το αίμα) νόσους.

Το Adzynma χορηγείται με ενδοφλέβια ένεση. Για την πρόληψη των επεισοδίων ΤΤΡ, το φάρμακο χορηγείται μία φορά την εβδομάδα ή κάθε δύο εβδομάδες. Για την κατ' απαίτηση θεραπεία οξέων επεισοδίων ΤΤΡ (που χαρακτηρίζονται από θρομβοκυτταροπενία και μικροαγγειοπαθητική αιμολυτική αναιμία), χορηγείται μία φορά την ημέρα. Η θεραπεία οξέος επεισοδίου πρέπει να ξεκινά την πρώτη ημέρα εμφάνισής του και να ολοκληρώνεται 2 ημέρες μετά τη λήξη του.

Μετά από κατάλληλη εκπαίδευση, οι ασθενείς ή τα άτομα που τους φροντίζουν μπορούν να κάνουν μόνοι τους την ένεση με Adzynma.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Adzynma, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.



Πώς δρα το Adzyna;

Οι ασθενείς που πάσχουν από cTTP παρουσιάζουν στο αίμα τους πολύ μικρή ποσότητα ενός ενζύμου (τύπου πρωτεΐνης) που ονομάζεται ADAMTS13. Το ένζυμο αυτό διασπά μεγάλους μήκους πρωτεΐνες του αίματος που αποκαλούνται παράγοντας von Willebrand. Όταν αυτές οι μεγάλοι μήκους πρωτεΐνες δεν απομακρύνονται, συσκολλώνται με αιμοπετάλια και σχηματίζουν θρόμβους στο αίμα. Η δραστική ουσία του Adzyna είναι μια παραλλαγή του ενζύμου ADAMTS13 (rADAMTS13) και παράγεται εργαστηριακά. Υποκαθιστά το ελλείπον ένζυμο ADAMTS13 και διασπά τον παράγοντα von Willebrand, προλαμβάνοντας έτσι τον σχηματισμό θρόμβων στο αίμα και την εμφάνιση εκχυμώσεων (μωλώπων), αιμορραγίας και αναιμίας.

Ποια είναι τα οφέλη του Adzyna σύμφωνα με τις μελέτες;

Τα οφέλη του Adzyna ως προληπτικής θεραπείας για επεισόδια TTP αξιολογήθηκαν σε μια κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 48 παιδιά και ενήλικες ηλικίας έως 70 ετών με σοβαρή cTTP. Η μελέτη χωρίστηκε σε τρεις περιόδους των 6 μηνών. Κατά τη διάρκεια της πρώτης περιόδου, οι ασθενείς έλαβαν είτε Adzyna είτε τη συνήθη θεραπεία τους (συχνά νωπό κατεψυγμένο πλάσμα) για την πρόληψη επεισοδίων TTP. Ανάλογα με το προηγούμενο θεραπευτικό σχήμα, οι ασθενείς λάμβαναν θεραπεία είτε μία φορά την εβδομάδα είτε κάθε δύο εβδομάδες. Κατά τη διάρκεια της δεύτερης περιόδου, οι ασθενείς αντικατέστησαν με Adzyna την αρχική συνήθη θεραπεία που λάμβαναν, οι δε ασθενείς που λάμβαναν αρχικά Adzyna το αντικατέστησαν με τη συνήθη θεραπεία τους. Κατά τη διάρκεια της τρίτης περιόδου, όλοι οι ασθενείς έλαβαν Adzyna.

Ένα οξύ επεισόδιο TTP σημειώθηκε στην ομάδα ασθενών που έλαβαν τη συνήθη θεραπεία τους κατά τη διάρκεια της μελέτης και κανένα στην ομάδα που έλαβε Adzyna. Επειδή ο αριθμός αυτός ήταν χαμηλός, δεν ήταν δυνατό να εξαχθεί συμπέρασμα σχετικά με το εάν το Adzyna μπορεί να θεραπεύσει οξεία επεισόδια TTP. Ωστόσο, η μελέτη έδειξε ότι και άλλα συμπτώματα της νόσου, όπως θρομβοκυτταροπενία και μικροαγγειοπαθητικά επεισόδια αιμολυτικής αναιμίας, παρατηρήθηκαν επίσης λιγότερο συχνά στους ασθενείς που έλαβαν Adzyna σε σύγκριση με τους ασθενείς που έλαβαν τη συνήθη θεραπεία τους.

Στη μελέτη μετείχαν επίσης 5 ασθενείς με cTTP στους οποίους, με την εμφάνιση οξέος επεισοδίου TTP, χορηγήθηκε Adzyna κατ' απαίτηση ή η συνήθης θεραπεία τους. Στη μελέτη, ένα οξύ επεισόδιο TTP αντιμετωπίστηκε επιτυχώς με το Adzyna και ένα με τη συνήθη θεραπεία του ασθενούς. Και τα δύο οξεία επεισόδια διευθετήθηκαν εντός 3 ημερών από τη χορήγηση της θεραπείας.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Adzyna;

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Adzyna, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες με το Adzyna (ενδέχεται να παρατηρηθούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι κεφαλαλγία, διάρροια, ζάλη, λοίμωξη του ανώτερου αναπνευστικού συστήματος (μύτη και λαιμός), ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας) και ημικρανία.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Adzyna στην ΕΕ;

Κατά τον χρόνο της έγκρισης, δεν υπήρχε διαθέσιμη ικανοποιητική θεραπεία για τους ασθενείς που πάσχουν από cTTP. Στόχος του Adzyna είναι να αντικαταστήσει την ελλείπουσα ποσότητα του ενζύμου ADAMTS13 με παρόμοια δραστική ουσία που παρασκευάζεται στο εργαστήριο. Παρόλο που τα δεδομένα των μελετών δεν παρέχουν επαρκείς αποδείξεις σχετικά με την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου στην πρόληψη οξέων επεισοδίων TTP, οι διαθέσιμες πληροφορίες, τα δεδομένα από εργαστηριακές μελέτες

και οι γνώσεις σχετικά με τη συμπεριφορά του φαρμάκου στον οργανισμό καταδεικνύουν μείωση των συμπτωμάτων της cTTP σε ασθενείς που λαμβάνουν Adzyna. Όλα αυτά υποδεικνύουν ότι η θεραπεία θα μπορούσε να είναι αποτελεσματική. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες του Adzyna θεωρήθηκαν αποδεκτές.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Adzyna υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Adzyna εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», Αυτό οφείλεται στο γεγονός ότι δεν κατέστη δυνατό να συγκεντρωθούν πλήρεις πληροφορίες σχετικά με το Adzyna λόγω του πολύ μικρού αριθμού οξέων συμβάντων TTP σε ασθενείς με cTTP. Η εταιρεία πρέπει να παράσχει περαιτέρω στοιχεία για το Adzyna. Πρέπει να υποβάλει τα πλήρη αποτελέσματα 3 μελετών για την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του Adzyna. Ο Οργανισμός θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Adzyna;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Adzyna θα παράσχει οδηγίες στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και μια κάρτα προειδοποίησης στους ασθενείς, καθώς και πληροφορίες σχετικά με τον τρόπο διαχείρισης των αλλεργικών αντιδράσεων στο Adzyna σε περίπτωση χορήγησης του φαρμάκου με ένεση στο σπίτι.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Adzyna.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Adzyna τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Adzyna αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Adzyna

Περισσότερες πληροφορίες για το Adzyna διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzyna.