



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332069/2024  
EMA/H/C/006191

## Adzynma (rADAMTS13)

### Ülevaade ravimist Adzynma ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Adzynma on ravim, mida kasutatakse kaasasündinud trombootilise trombotsütopeenilise purpuriga (cTTP) laste ja täiskasvanute raviks. See on pärilik haigus, mida põhjustavad mutatsioonid (muutused) *ADAMTS13*-geenis. Selle haigusega patsientidel esinevad ägedad episoodid, kus kogu organismi väikestes veresoontes tekib tromboos (verehüübed ehk trombid). Trombid võivad takistada elundite verevarustust ja kahjustada elundeid. Suurenenud hüübimine põhjustab trombotsüütide (vereliistakute) vähesust veres (trombotsütopeeniat), mis suurendab verejooksude riski. Patsientidel tekivad ka väikesed nahaalused verejooksud, mis avalduvad lillade laikudena (purpur). Kaasasündinud trombootiline trombotsütopeeniline purpur põhjustab ka erütrotsüütide kiiremat lagunemist, kui organism suudab neid toota, vähendades nii erütrotsüütide sisaldust (mikroangiopaatiline hemolüütiline aneemia), mille sümptomid on näiteks väsimus, nõrkus ja hingamisraskused.

Kaasasündinud trombootiline trombotsütopeeniline purpur on harvaesinev haigus ja Adzynma nimetati 3. detsembril 2008 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on EMA [veebilehel](#).

Adzynma sisaldab toimeainet rADAMTS13.

### Kuidas Adzynmat kasutatakse?

Adzynma on retseptiravim. Ravi peab alustama hematoloogiliste (verega seotud) haiguste ravis kogenud arst.

Adzynmat manustatakse veenisüstena. Trombootilise trombotsütopeenilise purpuri episoodide ennetamiseks manustatakse ravimit kord nädalas või iga kahe nädala järel. Ägedate trombootilise trombotsütopeenilise purpuri episoodide (mida iseloomustavad trombotsütopeenia ja mikroangiopaatiline hemolüütiline aneemia) vajaduspõhises ravis manustatakse ravimit üks kord ööpäevas; ägedate episoodide ravi peab algama episoodi esimesel päeval ja lõppema 2 päeva pärast selle lõppu.

Patsiendid või nende hooldajad võivad Adzynmat ise süstida, kui nad on saanud vastava väljaõppe.

Lisateavet Adzynma kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Kuidas Adzynma toimib?**

Kaasasündinud trombootilise trombotsütopeenilise purpuriga patsientidel on veres liiga vähe ensüümi ADAMTS13 (teatud valku). See ensüüm lõhustab veres suuri valke, mida nimetatakse von Willebrandi faktoriks. Kui neid suuri valke ei eemaldata, kleepuvad nad trombotsüütidega kokku ja moodustavad trombe. Adzynma toimeaine on ensüümi ADAMTS13 laboris toodetud versioon (rADAMTS13). See asendab puuduvat ensüümi ADAMTS13 ja lagundab von Willebrandi faktorit, takistades nii trombe, verevalumite, verejooksu ja aneemia teket.

## **Mis on uuringute põhjal Adzynma kasulikkus?**

Adzynma kasulikkust trombootilise trombotsütopeenilise purpuri episoodide ennetava ravina hinnati põhiuuringus, milles osales 48 last ja kuni 70-aastast täiskasvanut, kellel oli selle haiguse raske vorm. Uuring jagati kolmeks 6-kuuliseks etapiks. Esimeses etapis manustati patsientidele trombootilise trombotsütopeenilise purpuri episoodide ennetamiseks kas Adzynmat või nende tavaravi (enamasti värsket külmutatud plasmat). Sõltuvalt varasemast raviskeemist said patsiendid ravi kas üks kord nädalas või iga kahe nädala järel. Teises etapis läksid patsiendid, kellele oli manustatud esmalt tavaravi, üle Adzynmale ning algselt Adzynmat saanud patsiendid said nüüd oma tavaravi. Kolmandas etapis said kõik patsiendid Adzynmat.

Uuringu ajal tavaravi saanud patsientide rühmas esines üks äge trombootilise trombotsütopeenilise purpuri episood ja Adzynma rühmas mitte ükski. Et see arv oli väike, ei olnud võimalik järeldada, kas Adzynma suudab ravida ägedaid trombootilise trombotsütopeenilise purpuri episoodide. Uuring tõendas siiski, et haiguse muid sümptomeid, näiteks trombotsütopeeniat ja mikroangiopaatilist hemolüütilist aneemiat, esines Adzynmaga ravitud patsientidel harvem kui tavaravi saanud patsientidel.

Uuringus osales ka 5 kaasasündinud trombootilise trombotsütopeenilise purpuriga patsienti, kellele manustati ägeda trombootilise trombotsütopeenilise purpuri episoodi korral vajaduspõhiselt Adzynmat või tavaravi. Uuringus raviti üht ägedat trombootilise trombotsütopeenilise purpuri episoodi edukalt Adzynmaga ja teist patsiendi tavaraviga. Mõlemad ägedad episoodid lahenesid 3 ravipäeva jooksul.

## **Mis on Adzynma riskid?**

Adzynma kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Adzynma kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks peavalu, kõhulahtisus, peapööritus, ülemiste hingamisteede (nina ja kurgu) infektsioon, iiveldus ja migreen.

## **Miks Adzynma ELis heaks kiideti?**

Müügiloa andmise ajal ei olnud kaasasündinud trombootilise trombotsütopeenilise purpuriga patsientidele rahuldavat ravi. Adzynma asendab puuduva ADAMTS13-ensüümi selle ensüümi sarnase versiooniga, mis on toodetud laboris. Kuigi uuringuandmed ei tõenda piisavalt, et ravim on ägedate trombootilise trombotsütopeenilise purpuri episoodide ennetamisel efektiivne, on olemas laboriuuringutest saadud teave, teadmised, kuidas ravim organismis toimib, ja andmed, mis tõendavad, et Adzynmaga ravitud patsientidel on kaasasündinud trombootilise trombotsütopeenilise purpuri sümptomid vähenenud. See näitab, et ravi võib olla efektiivne. Adzynma kõrvalnähte peeti vastuvõetavaks.

Euroopa Raviamet otsustas, et Adzynma kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Adzynma müügiluba on antud erandlikel asjaoludel. See tähendab, et Adzynma kohta ei olnud võimalik saada täielikku teavet, sest kaasasündinud trombootilise trombotsütopeenilise purpuriga patsientidel esines väga vähe selle haiguse ägedaid episoode. Ettevõtte peab esitama Adzynma kohta lisaandmeid. Esitada tuleb kolme Adzynma ohutus- ja efektiivsusuuringu täielikud tulemused. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe.

## **Mis meetmed võetakse, et tagada Adzynma ohutu ja efektiivne kasutamine?**

Adzynma turustaja annab tervishoiutöötajatele juhendi ja patsientidele hoiatuskaardi, mis sisaldab teavet, kuidas ohjata Adzynmaga kaasnevaid allergilisi reaktsioone, kui ravimit süstitakse kodus.

Adzynma ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Adzynma kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Adzynma oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

## **Muu teave Adzynma kohta**

Lisateave Adzynma kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma).