



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332070/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Yleistiedot Adzynma-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Adzynma on lääke, jolla hoidetaan lapsia ja aikuisia, joilla on synnynnäinen tromboottinen trombosytopeeninen purppura (cTTP). Se on perinnöllinen sairaus, jonka aiheuttavat *ADAMTS13*-geenin mutaatiot (muutokset). cTTP:tä sairastavilla potilailla on akuutteja kohtauksia, joissa elimistön pieniin verisuoniin muodostuu verihyytymiä (tromboosi). Hyytymät voivat vaikeuttaa verenkiertoa elimiin ja aiheuttaa elinvaurioita. Lisääntynyt hyytyminen johtaa verihyutaleiden vähenemiseen veressä (trombosytopenia), mikä suurentaa verenvuotojen riskiä. Potilailla esiintyy myös pieniä ihonalaisia verenvuotoja, jotka näkyvät purppuranvärisinä pilkkuina (purppura). cTTP saa myös elimistön hajottamaan punasoluja nopeammin kuin se pystyy tuottamaan niitä, mikä johtaa punasolujen määrän vähenemiseen (mikroangiopaattinen hemolyyttinen anemia). Tämän oireita ovat muun muassa väsymys, heikkous ja hengenahdistus.

cTTP on harvinainen sairaus, ja Adzynma nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 3. joulukuuta 2008. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Adzynman vaikuttava aine on rADAMTS13.

Miten Adzynmaa käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa vain lääkäri, jolla on kokemusta hematologisten (vereen liittyvien) sairauksien hoidosta.

Adzynma annetaan injektiona laskimoon. TTP-kohtausten ehkäisyssä lääkettä annetaan kerran viikossa tai joka toinen viikko. Akuuttien TTP-kohtausten (joille on ominaista trombosytopenia ja mikroangiopaattinen hemolyyttinen anemia) hoidossa sitä annetaan kerran vuorokaudessa. Akuuttien kohtausten hoito aloitetaan kohtauksen ensimmäisenä päivänä ja lopetetaan kahden päivän kuluttua kohtauksen päättymisestä.

Potilaat tai heidän hoitajansa voivat injektoida Adzynman itse saatuaan siihen opastuksen.

Lisätietoja Adzynman käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.



Miten Adzynma vaikuttaa?

cTTP:tä sairastavilla potilailla veressä on liian vähän ADAMTS13-nimistä entsyymiä (eräs proteiinityyppi). ADAMTS13-entsyymi hajottaa von Willebrandin tekijäksi kutsuttuja veren suurikokoisia proteiineja. Jos näitä suurikokoisia proteiineja ei pilkota, ne kasautuvat verihiutaleiden kanssa ja muodostavat verihyytymiä. Adzynman vaikuttava aine rADAMTS13 on laboratoriovalmisteinen toisinto ADAMTS13-entsyymistä. Se korvaa puuttuvan ADAMTS13-entsyymien, jolloin von Willebrand -tekijäksi kutsutut suuret proteiinit pilkkoutuvat pienemmiksi, mikä ehkäisee verihyytymien muodostumista, mustelmia, verenvuotoa ja anemiasa.

Mitä hyötyä Adzynmasta on havaittu tutkimuksissa?

Adzynman hyötyä TTP-kohtausten ennalta ehkäisevänä hoitona arvioitiin päätutkimuksessa, johon osallistui 48 vaikeaa cTTP-oireyhtymää sairastavaa alle 70-vuotiasta lasta ja aikuista. Tutkimus jaettiin kolmeen kuuden kuukauden jaksoon. Ensimmäisen jakson aikana potilaille annettiin joko Adzynmaa tai heidän tavanomaista hoitoaan (tavallisesti jääplasmaa) TTP-kohtausten ehkäisemiseksi. Aiemmasta hoitoaikataulustaan riippuen potilaat saivat hoitoa joko kerran viikossa tai kahden viikon välein. Toisen vaiheen aikana tavanomaista hoitoaan ensin saaneet potilaat siirtyivät käyttämään Adzynmaa, ja alun perin Adzynmaa saaneet potilaat saivat tavanomaista hoitoaan. Kolmannen jakson aikana kaikki potilaat saivat Adzynma-valmistetta.

Tavanomaista hoitoaan tutkimuksen aikana saaneessa potilasryhmässä esiintyi yksi akuutti TTP-kohtaus. Adzynmaa saaneessa potilasryhmässä ei esiintynyt yhtään kohtausa. Koska akuuttien TTP-kohtausten määrä oli vähäinen, ei ollut mahdollista päätellä pystytäänkö Adzynmalla hoitamaan akuutteja TTP-kohtauksia. Tutkimus osoitti kuitenkin, että sairauden muita oireita, kuten trombosytopeniaa ja mikroangiopaattista hemolyyttistä anemiasa, esiintyi harvemmin Adzynmaa saaneilla potilailla kuin tavanomaista hoitoa saaneilla potilailla.

Tutkimukseen osallistui myös viisi cTTP:tä sairastavaa potilasta, joilla akuutteja TTP-kohtauksia hoidettiin joko Adzynmalla tarvittaessa annettavana hoitona tai tavanomaisella hoidolla. Tutkimuksessa yksi akuutti TTP-kohtaus hoidettiin onnistuneesti Adzynmalla ja yksi potilaan tavanomaisella hoidolla. Molemmat akuutit kohtaukset saatiin hallintaan kolmen hoitopäivän kuluessa.

Mitä riskejä Adzynmaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Adzynman ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Adzynman yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat päänsärky, ripuli, huimaus, ylähengitysteiden (nenän ja nielun) infektiot, pahoinvointi ja migreeni.

Miksi Adzynma on hyväksytty EU:ssa?

Hyväksymisajankohtana cTTP:tä sairastavilla potilaille ei ollut saatavilla tyydyttävää hoitoa. Adzynman tarkoituksena on korvata puuttuva ADAMTS13-entsyymi laboratoriovalmisteisella samankaltaisella versiolla. Vaikka tutkimustiedot eivät anna riittävää näyttöä lääkkeen tehokkuudesta akuuttien TTP-kohtausten ehkäisemisessä, laboratoriotutkimuksista on saatavilla tietoa lääkkeen käyttäytymisestä elimistössä. Laboratoriotutkimukset ovat myös osoittaneet cTTP:n oireiden vähenevän Adzynmaa saaneilla potilailla. Kaikki nämä seikat viittaavat hoidon mahdolliseen tehokkuuteen. Adzynman haittavaikutusten katsottiin olevan hyväksyttävää.

Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Adzynman hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Adzynma on saanut myyntiluvan ns. poikkeuksellisissa olosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että Adzynmasta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja, koska cTTP:tä sairastavilla potilailla oli vain hyvin vähän akuutteja TTP-tapahtumia. Yhtiön on toimitettava lisätietoja Adzynmasta. Sen on toimitettava täydelliset tulokset kolmesta Adzynman turvallisuutta ja tehoa koskevasta tutkimuksesta. Virasto arvioi vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot.

Miten voidaan varmistaa Adzynman turvallinen ja tehokas käyttö?

Adzynmaa markkinoiva yhtiö toimittaa terveydenhuollon ammattilaisille oppaan ja potilaille potilaskortin, jotka sisältävät tietoa Adzynman mahdollisesti aiheuttamien allergisten reaktioiden hallinnasta, kun lääkettä injektoidaan kotona.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Adzynman käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Adzynman käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Adzynma-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Adzynmasta

Lisätietoja Adzynmasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.