



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332071/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*ADAMTS13r*)

Aperçu d'Adzynma et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Adzynma est un médicament indiqué dans le traitement des enfants et des adultes atteints de purpura thrombotique thrombocytopénique congénital (PTTc), une maladie héréditaire causée par des mutations (modifications) du gène *ADAMTS13*. Les patients atteints de cette maladie présentent des épisodes aigus au cours desquels des thromboses (caillots sanguins) se forment dans les petits vaisseaux sanguins dans tout le corps. Les caillots peuvent entraver le flux sanguin vers les organes et provoquer des lésions. L'augmentation de la coagulation entraîne un déficit de plaquettes dans le sang (thrombocytopénie), ce qui augmente le risque de saignements. Les patients présentent également de petites hémorragies sous la peau qui apparaissent comme des taches pourpres (purpura). Le PTTc provoque également la dégradation des globules rouges plus rapidement que le corps ne peut les produire, ce qui réduit le taux de globules rouges (anémie hémolytique microangiopathique), avec des symptômes tels que: fatigue, faiblesse et dyspnée.

Le PTTc est rare et Adzynma a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 3 décembre 2008. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Adzynma contient la substance active ADAMTS13r.

Comment Adzynma est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans les maladies hématologiques (liées au sang).

Adzynma est administré par injection dans une veine. Pour la prévention des épisodes de PTT, il est administré une fois par semaine ou toutes les deux semaines. Pour le traitement à la demande des épisodes aigus de PTT (caractérisés par une thrombocytopénie et une anémie hémolytique microangiopathique), il est administré une fois par jour; le traitement des épisodes aigus doit débuter le premier jour de l'épisode et se terminer deux jours après la fin de celui-ci.

Les patients ou leurs aidants peuvent injecter Adzynma eux-mêmes après avoir reçu une formation à cet effet.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Adzynma, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.



Comment Adzynma agit-il?

Les patients atteints de PTTc présentent trop peu d'une enzyme (un type de protéine) appelée ADAMTS13 dans le sang. Cette enzyme décompose de grandes protéines dans le sang appelées «facteur de von Willebrand». Lorsque ces grandes protéines ne sont pas éliminées, elles s'agglomèrent aux plaquettes sanguines et forment des caillots sanguins. La substance active d'Adzynma est une version d'ADAMTS13 (ADAMTS13r) produite en laboratoire. Elle remplace l'enzyme ADAMTS13 manquante et décompose le facteur de von Willebrand, empêchant ainsi la formation de caillots sanguins, les contusions, les saignements et l'anémie.

Quels sont les bénéfices d'Adzynma démontrés au cours des études?

Les bénéfices d'Adzynma en tant que traitement préventif des épisodes de PTT ont été évalués dans le cadre d'une étude principale portant sur 48 enfants et adultes âgés de moins de 70 ans atteints de PTTc sévère. L'étude a été divisée en trois périodes de 6 mois. Au cours de la première période, les patients ont reçu soit Adzynma, soit leur traitement habituel (souvent du plasma frais congelé) afin de prévenir les épisodes de PTT. En fonction de leur précédent schéma thérapeutique, ils recevaient un traitement soit une fois par semaine, soit toutes les deux semaines. Au cours de la deuxième période, les patients ayant d'abord reçu leur traitement habituel sont passés à Adzynma et ceux qui avaient initialement reçu Adzynma recevaient désormais leur traitement habituel. Au cours de la troisième période, tous les patients étaient sous Adzynma.

Un épisode aigu de PTT est survenu au sein du groupe de patients ayant reçu leur traitement habituel au cours de l'étude et aucun au sein du groupe sous Adzynma; étant donné que ce nombre était faible, il n'a pas été possible de conclure qu'Adzynma pouvait traiter les épisodes aigus de PTT. Toutefois, l'étude a montré que d'autres symptômes de la maladie, tels que la thrombocytopénie et les événements d'anémie hémolytique microangiopathique, ont été observés moins souvent chez les patients ayant reçu Adzynma que chez les patients ayant reçu leur traitement habituel.

L'étude a également porté sur 5 patients atteints de PTTc ayant reçu Adzynma à la demande ou leur traitement habituel lorsqu'ils présentaient un épisode de PTT aigu. Dans cette étude, un épisode aigu de PTT a été traité avec succès par Adzynma et un autre avec le traitement habituel du patient. Les deux épisodes aigus ont été résolus dans les 3 jours suivant le traitement.

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Adzynma?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Adzynma, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Adzynma (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: maux de tête, diarrhée, sensations de vertige, infection des voies respiratoires supérieures (nez et gorge), nausées (envie de vomir) et migraine.

Pourquoi Adzynma est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'approbation, aucun traitement satisfaisant n'était disponible pour les patients atteints de PTTc. Adzynma vise à remplacer la protéine ADAMTS13 manquante par une version similaire de cette enzyme fabriquée en laboratoire. Bien que les données de l'étude ne fournissent pas suffisamment d'éléments attestant l'efficacité du médicament dans la prévention des épisodes de PTT aigus, des informations provenant d'études de laboratoire, de connaissances sur le comportement du médicament dans l'organisme et de données montrant une réduction des symptômes du PTTc chez les

patients sous Adzynma sont disponibles. Tous ces éléments indiquent que le traitement pourrait être efficace. Les effets secondaires d'Adzynma ont été considérés comme acceptables.

Dès lors, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Adzynma sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Adzynma a été autorisé dans des «circonstances exceptionnelles». En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes sur Adzynma en raison du très faible nombre d'événements de PTT aigus chez les patients atteints de PTTc. La société doit fournir des données complémentaires sur Adzynma. Elle doit soumettre les résultats complets de trois études sur la sécurité et l'efficacité d'Adzynma. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Adzynma?

La société qui commercialise Adzynma fournira un guide aux professionnels de santé et une carte de mise en garde aux patients contenant des informations sur la manière de gérer les réactions allergiques à Adzynma lorsque le médicament est injecté à domicile.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Adzynma ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Adzynma sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Adzynma sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Adzynma:

De plus amples informations sur Adzynma sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.