



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332072/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Pregled informacija o lijeku Adzynma i zašto je odobren u EU-u

Adzynma je lijek koji se koristi za liječenje djece i odraslih osoba s kongenitalnom trombotičnom trombocitopeničnom purpurom (cTTP), nasljednom bolešću koju uzrokuju mutacije (promjene) u *genu ADAMTS13*. Bolesnici s tom bolešću imaju akutne epizode u kojima se tromboza (krvni ugrušci) stvara u malim krvnim žilama u cijelom tijelu. Ugrušci mogu ometati protok krvi u organe i uzrokovati oštećenja. Povećano zgrušavanje dovodi do manjka trombocita u krvi (trombocitopenije), što povećava rizik od krvarenja. Bolesnici također imaju mala krvarenja ispod kože koja se pojavljuju kao ljubičaste mrlje (purpura). Kongenitalna trombotična trombocitopenična purpura (cTTP) također uzrokuje da tijelo razgrađuje crvene krvne stanice brže nego što ih može proizvesti, smanjujući razinu crvenih krvnih stanica (mikroangiopatska hemolitička anemija), sa simptomima koji uključuju umor, slabost i otežano disanje.

cTTP je rijetka bolest, a lijek Adzynma dobio je status „lijeka za rijetke bolesti“ 3. prosinca 2008. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Adzynma sadrži djelatnu tvar *rADAMTS13*.

Kako se Adzynma primjenjuje?

Lijek se izdaje samo na recept, a liječenje treba započeti liječnik s iskustvom u hematološkim (krvnim) bolestima.

Adzynma se primjenjuje kao injekcija u venu. Za sprječavanje epizoda TTP-a (trombotične trombocitopenične purpure) lijek se daje jednom tjedno ili svaka dva tjedna. Za liječenje akutnih epizoda TTP-a na zahtjev (karakteriziranih trombocitopenijom i mikroangiopatskom hemolitičkom anemijom) daje se jednom dnevno; liječenje akutnih epizoda treba započeti prvog dana epizode i završiti 2 dana nakon njezina završetka.

Bolesnici ili njihovi negovatelji mogu si samostalno davati injekcije lijeka Adzynma nakon što prođu odgovarajuću obuku.

Za više informacija o primjeni lijeka Adzynma pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.



Kako djeluje Adzynma?

Bolesnici s cTTP-om imaju premalo enzima (vrste proteina) pod nazivom ADAMTS13 u krvi. Taj enzim razgrađuje velike proteine u krvi koji se nazivaju von Willebrandov faktor. Ako se ti veliki proteini ne uklone, nakupljaju se s trombocitima i stvaraju krvne ugruške. Djelatna tvar u lijeku Adzynma je verzija proteina ADAMTS13 (rADAMTS13) koja se proizvodi u laboratoriju. Zamjenjuje enzim ADAMTS13 koji nedostaje i razgrađuje von Willebrandov faktor te na taj način sprječava stvaranje krvnih ugrušaka, modrica, krvarenja i anemije.

Koje su koristi od lijeka Adzynma utvrđene u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Adzynma kao preventivnog liječenja epizoda TTP-a procijenjene su u glavnom ispitivanju koje je obuhvaćalo 48 djece i odraslih do 70 godina s teškim cTTP-om. Ispitivanje je bilo podijeljeno na tri razdoblja od 6 mjeseci. Tijekom prvog razdoblja bolesnici su primali lijek Adzynma ili uobičajenu terapiju (često svježu smrznutu plazmu) za sprječavanje epizoda TTP-a. Ovisno o njihovom prethodnom rasporedu liječenja, liječeni su ili jednom tjedno ili svaka dva tjedna. Tijekom drugog razdoblja bolesnici koji su prethodno primali uobičajeno liječenje prešli su na lijek Adzynma, a bolesnici koji su prvotno primali lijek Adzynma sada su primili uobičajeno liječenje. Tijekom trećeg razdoblja svi su bolesnici uzimali lijek Adzynma.

Jedna akutna epizoda TTP-a pojavila se u skupini bolesnika koji su tijekom ispitivanja primali svoju uobičajenu terapiju i nijedna u skupini koja je uzimala lijek Adzynma; budući da je taj broj bio nizak, nije bilo moguće zaključiti može li se lijekom Adzynma liječiti akutne epizode TTP-a. Međutim, ispitivanje je pokazalo da su drugi simptomi bolesti, kao što su trombocitopenija i mikroangiopatska hemolitička anemija, rjeđe zabilježeni u bolesnika koji su primali lijek Adzynma nego u bolesnika koji su primali uobičajenu terapiju.

Ispitivanje je obuhvatilo i 5 bolesnika s cTTP-om koji su primali lijek Adzynma na zahtjev ili svoje uobičajeno liječenje kada su imali akutnu epizodu TTP-a. U ispitivanju je jedna akutna epizoda TTP-a uspješno liječena lijekom Adzynma, a jedna s uobičajenim liječenjem bolesnika. Obje akutne epizode povukle su se u roku od 3 dana nakon liječenja.

Koji su rizici povezani s lijekom Adzynma?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Adzynma potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Adzynma (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju glavobolju, proljev, omaglicu, infekciju gornjeg dišnog sustava (nosa i grla), mučninu (slabost) i migrenu.

Zašto je lijek Adzynma odobren u EU-u?

U trenutku odobrenja nije bilo dostupno zadovoljavajuće liječenje za bolesnike s cTTP-om. Cilj je lijeka Adzynma zamijeniti nedostatak enzima ADAMTS13 sličnom verzijom tog enzima proizvedenog u laboratoriju. Iako podatci iz ispitivanja ne pružaju dovoljno dokaza da je lijek učinkovit u sprječavanju akutnih epizoda TTP-a, dostupne su informacije iz laboratorijskih ispitivanja, saznanja o tome kako lijek djeluje u tijelu i podatci koji pokazuju smanjenje simptoma cTTP-a u bolesnika koji uzimaju lijek Adzynma. Sve to upućuje na to da bi liječenje moglo biti djelotvorno. Nuspojave lijeka Adzynma smatrale su se prihvatljivima.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Adzynma nadmašuju s njim povezane rizike te da može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Adzynma odobren je u „iznimnim okolnostima“. To je zato što nije bilo moguće dobiti potpune informacije o lijeku Adzynma zbog vrlo malog broja akutnih događaja TTP-a u bolesnika s cTTP-om. Tvrtka mora dostaviti dodatne podatke o lijeku Adzynma. Mora dostaviti potpune rezultate triju ispitivanja o sigurnosti i učinkovitosti lijeka Adzynma. Svake će godine Europska agencija za lijekove procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Adzynma?

Tvrtka koja stavlja lijek Adzynma u promet osigurati će priručnik za zdravstvene djelatnike i karticu s upozorenjima za bolesnike, uključujući informacije o tome kako liječiti alergijske reakcije na lijek Adzynma kada se lijek ubrizgava kod kuće.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Adzynma nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Adzynma kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Adzynma pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Adzynma

Više informacija o lijeku Adzynma dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.