



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332073/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Az Adzynma-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Az Adzynma a veleszületett trombotikus trombocitopéniás purpurában (cTTP) – az ADAMTS13 *gén* mutációi (elváltozásai) által okozott örökletes betegségben – szenvedő gyermekek és felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer. Az e betegségben szenvedő betegeknél akut epizódok fordulnak elő, amelyek során trombózis (vérrögök) alakul(nak) ki a szervezetben lévő kis erekben. A vérrögök akadályozhatják a szervek vérellátását, ezáltal károsodást okozhatnak. A fokozott vérröggképződés a vérlemezkék számának csökkenését eredményezi a vérben (trombocitopénia), ami növeli a vérzések kockázatát. A betegeknél bőr alatti kisebb bevérzések is előfordulnak, amelyek bíbor színű foltként (purpura) jelennek meg. cTTP esetén továbbá a szervezet gyorsabban bontja le a vörösvérsejteket, mint ahogy azokat képes előállítani, ezáltal csökken a vörösvérsejtek száma (mikroangiopatiás hemolitikus anémia); a betegség olyan tünetekkel jár, mint a fáradtság, a gyengeség és a légszomj.

A cTTP „ritkának” minősül, ezért az Adzynma-t 2008. december 3-án „ritka betegségek elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

Az Adzynma hatóanyaga az rADAMTS13.

Hogyan kell alkalmazni az Adzynma-t?

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a hematológiai (vérrel kapcsolatos) rendellenességek kezelésében jártas orvos felügyelete alatt kell elkezdni.

Az Adzynma-t vénás injekcióban kell beadni. A TTP-epizódok megelőzésére a gyógyszert hetente vagy kéthetente egyszer kell alkalmazni. Az akut (trombocitopénia és mikroangiopatiás hemolitikus anémia által jellemzett) TTP-epizódok igény szerinti kezelése esetén a gyógyszert naponta egyszer kell alkalmazni; az akut epizódok kezelését az epizód első napján kell elkezdni, és annak elmúlását követően még két napig kell folytatni.

Megfelelő betanítást követően a betegek vagy gondozóik maguk is beadhatják az Adzynma-injekciót.

Az Adzynma alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.



Hogyan fejti ki hatását az Adzynma?

A cTTP-ben szenvedő betegek vérében túl kevés az ADAMTS13 nevű enzim (egy fehérjetípus). Ez az enzim bontja le a vérben lévő, von Willebrand-faktornak nevezett nagy fehérjemolekulákat. Ha ezeket a nagy fehérjemolekulákat nem távolítják el, azok összetapadnak a vérlemezkékkel és vérrögöket képeznek. Az Adzynma hatóanyaga az ADAMTS13 enzim egyik változata (rADAMTS13), amelyet laboratóriumban állítanak elő. Pótolja a hiányzó ADAMTS13 enzimet és lebontja a von Willebrand-faktort, ezáltal megakadályozza a vérrögök, a véraláfutások, a vérzés és a vérszegénység kialakulását.

Milyen előnyei voltak az Adzynma alkalmazásának a vizsgálatok során?

A TTP-epizódok megelőző kezeléseként alkalmazott Adzynma előnyeit egy fő vizsgálatban értékelték, amelyben 48, súlyos cTTP-ben szenvedő gyermek és legfeljebb 70 éves felnőtt vett részt. A vizsgálatot három 6 hónapos időszakra osztották fel. Az első időszakban a betegek vagy Adzynma-t, vagy a TTP-epizódok megelőzésére szolgáló szokásos kezelésüket (gyakran friss fagyasztott plazmát) kapták. Korábbi kezelési ütemtervüktől függően hetente vagy kéthetente egyszer részesültek kezelésben. A második időszakban az először a szokásos kezelést kapott betegeket átállították az Adzynma-ra, az eredetileg Adzynma-val kezelt betegeknél pedig a szokásos kezelésüket alkalmazták. A harmadik időszakban minden beteg Adzynma-t kapott.

A vizsgálat során a szokásos kezelésüket kapott betegek csoportjában egy akut TTP-epizód jelentkezett, az Adzynma-t alkalmazó csoportban pedig egy sem; mivel ez a szám alacsony volt, nem lehetett megállapítani, hogy az Adzynma alkalmas-e az akut TTP-epizódok kezelésére. A vizsgálat azonban azt mutatta, hogy a betegség egyéb tünetei, például a trombocitopénia és a mikroangiopatiás hemolitikus anémia tünetei ritkábban fordulnak elő az Adzynma-val kezelt betegeknél, mint a szokásos kezelésüket kapó betegeknél.

A vizsgálatban továbbá 5 olyan, cTTP-ben szenvedő beteg is részt vett, akik akut TTP-epizódok esetén igény szerint Adzynma-t vagy a szokásos kezelésüket kapták. A vizsgálatban egy akut TTP-epizódot sikeresen kezeltek Adzynma-val, egyet pedig a beteg szokásos kezelésével. Mindkét akut epizód a kezelést követő 3 napon belül elmúlt.

Milyen kockázatokkal jár az Adzynma alkalmazása?

Az Adzynma alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Adzynma leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, a hasmenés, a szédülés, a felső légúti (orr- és torok-) fertőzés, a hányinger és a migrén.

Miért engedélyezték az Adzynma forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában nem állt rendelkezésre kielégítő kezelés a cTTP-ben szenvedő betegek számára. Az Adzynma célja, hogy a hiányzó ADAMTS13 enzimet annak laboratóriumban előállított hasonló változatával pótolják. Bár a vizsgálati adatok nem nyújtanak elegendő bizonyítékot arra vonatkozóan, hogy a gyógyszer hatásos az akut TTP-epizódok megelőzésében, laboratóriumi vizsgálatokból származó információk, a gyógyszer szervezetben mutatott viselkedésével kapcsolatos ismeretek, valamint a cTTP tüneteinek enyhülését mutató adatok állnak rendelkezésre az Adzynma-t kapó betegeknél. Ezek mind arra utalnak, hogy a kezelés hatásos lehet. Az Adzynma mellékhatásai elfogadhatónak tekinthetők.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Adzynma alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Az Adzynma forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy mivel a cTTP-ben szenvedő betegeknek nagyon alacsony volt az akut TTP-események száma, így nem lehetett teljes körű információt gyűjteni az Adzynma-ról. A vállalatnak további adatokat kell szolgáltatnia az Adzynma-ra vonatkozóan. A vállalatnak be kell nyújtania három, az Adzynma biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó vizsgálat teljes körű eredményeit. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Adzynma biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Adzynma-t forgalmazó vállalat útmutatót fog az egészségügyi szakemberek számára biztosítani, valamint egy figyelmeztető kártyát a betegek számára, információkat szolgáltatva azzal kapcsolatban, hogy hogyan kell kezelni a gyógyszer otthoni beadását követően az Adzynma-val szemben bekövetkező allergiás reakciókat.

Az Adzynma biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Adzynma alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Adzynma alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Adzynma-val kapcsolatos egyéb információ

Az Adzynma-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.