



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332074/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Sintesi di Adzynma e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Adzynma è un medicinale usato per il trattamento di bambini e adulti affetti da porpora trombotica trombocitopenica congenita (cTTP), una malattia ereditata causata da mutazioni (cambiamenti) nel gene ADAMTS13. I pazienti affetti da questa malattia presentano episodi acuti in cui si formano trombosi (coaguli di sangue) in piccoli vasi sanguigni in tutto l'organismo. I coaguli possono ostacolare il flusso di sangue verso gli organi e causare danni. L'aumento della coagulazione comporta una carenza di piastrine nel sangue (trombocitopenia), aumentando il rischio di sanguinamenti. I pazienti hanno anche piccoli sanguinamenti sotto la pelle che compaiono come macchie viola (porpora). cTTP provoca anche la scomposizione dei globuli rossi più velocemente di quanto l'organismo possa fare, abbassando il livello di globuli rossi (anemia emolitica microangiopatica), con sintomi quali stanchezza, debolezza e fiato corto.

cTTP è rara e Adzynma è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 3 dicembre 2008. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Adzynma contiene il principio attivo rADAMTS13.

Come si usa Adzynma?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto in malattie ematologiche (correlate al sangue).

Adzynma è somministrato sotto forma di iniezione in vena. Per la prevenzione degli episodi di TTP, il medicinale viene somministrato una volta alla settimana o ogni due settimane. Per il trattamento al bisogno degli episodi acuti di TTP (caratterizzati da trombocitopenia e anemia emolitica microangiopatica) viene somministrato una volta al giorno; il trattamento degli episodi acuti deve iniziare il primo giorno dell'episodio e terminare due giorni dopo la sua conclusione.

I pazienti o le persone che li assistono possono praticare l'iniezione di Adzynma da soli, purché abbiano ricevuto le opportune istruzioni.

Per maggiori informazioni sull'uso di Adzynma, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.



Come agisce Adzynma?

I pazienti affetti da cTTP presentano nel sangue una quantità troppo limitata di un enzima (un tipo di proteina) denominato ADAMTS13. Questo enzima scompone grandi proteine nel sangue denominate fattore von Willebrand. Quando non vengono eliminate, queste grandi proteine si aggregano con le piastrine del sangue e formano coaguli di sangue. Il principio attivo di Adzynma è una versione di ADAMTS13 (rADAMTS13) prodotta in laboratorio. Sostituisce l'enzima ADAMTS13 mancante e scompone il fattore von Willebrand, prevenendo in tal modo la formazione di coaguli di sangue, lividi, sanguinamento e anemia.

Quali benefici di Adzynma sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Adzynma come trattamento preventivo per episodi di TTP sono stati valutati in uno studio principale condotto su 48 bambini e adulti fino a 70 anni affetti da cTTP grave. Lo studio è stato ripartito in tre periodi di sei mesi. Durante il primo periodo, ai pazienti è stato somministrato Adzynma o il loro trattamento abituale (spesso plasma fresco congelato) per prevenire episodi di TTP. A seconda del loro precedente programma di trattamento, hanno ricevuto il trattamento una volta alla settimana o ogni due settimane. Durante il secondo periodo, i pazienti ai quali era stato somministrato per la prima volta il trattamento abituale sono passati ad Adzynma e quelli ai quali era stato inizialmente somministrato Adzynma sono stati sottoposti al trattamento abituale. Durante il terzo periodo, tutti i pazienti hanno assunto Adzynma.

Un episodio acuto di TTP si è verificato nel gruppo di pazienti sottoposti alla terapia abituale durante lo studio e nessuno nel gruppo che assumeva Adzynma; poiché tale numero era basso, non è stato possibile concludere se Adzynma sia in grado di trattare episodi acuti di TTP. Tuttavia, lo studio ha mostrato che altri sintomi della malattia, quali trombocitopenia ed eventi di anemia emolitica microangiopatica, sono stati osservati meno spesso nei pazienti trattati con Adzynma rispetto a quelli sottoposti al loro trattamento abituale.

Lo studio ha inoltre coinvolto cinque pazienti affetti da cTTP cui è stato somministrato Adzynma al bisogno o il loro trattamento abituale quando hanno avuto un episodio acuto di TTP. Nello studio, un episodio acuto di TTP è stato trattato con successo con Adzynma e uno con la terapia abituale del paziente. Entrambi gli episodi acuti sono stati risolti entro tre giorni dal trattamento.

Quali sono i rischi associati a Adzynma?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Adzynma, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Adzynma (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono cefalea, diarrea, capogiro, infezione delle vie respiratorie superiori (naso e gola), nausea ed emicrania.

Perché Adzynma è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'approvazione non era disponibile alcun trattamento soddisfacente per i pazienti affetti da cTTP. Adzynma mira a sostituire l'ADAMTS13 mancante con una versione simile di questo enzima prodotta in laboratorio. Sebbene i dati dello studio non forniscano prove sufficienti dell'efficacia del medicinale nel prevenire episodi acuti di TTP, sono disponibili informazioni derivanti da studi di laboratorio, conoscenze sul modo in cui il medicinale agisce nell'organismo e dati che mostrano una riduzione dei sintomi di cTTP nei pazienti che assumono Adzynma. Tutti questi dati indicano che il

trattamento potrebbe essere efficace. Gli effetti indesiderati di Adzynma sono stati considerati accettabili.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Adzynma sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Adzynma è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete sul medicinale a causa del numero molto basso di eventi acuti di TTP nei pazienti affetti da cTTP. La ditta deve fornire ulteriori dati su Adzynma. Deve presentare i risultati completi di tre studi sulla sicurezza e l'efficacia di Adzynma. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Adzynma?

La ditta che commercializza Adzynma fornirà una guida per gli operatori sanitari e una scheda di allerta per i pazienti, contenente informazioni su come gestire le reazioni allergiche ad Adzynma quando il medicinale viene iniettato a casa.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Adzynma sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Adzynma sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Adzynma sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Adzynma

Ulteriori informazioni su Adzynma sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.