



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332075/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Adzynma apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Adzynma – tai vaistas, kuriuo gydomi vaikai ir suaugusieji, sergantys įgimta trombine trombocitopeninė purpura (įTTP), – paveldima liga, kurią sukelia *ADAMTS13* geno mutacijos (pokyčiai). Šia liga sergantiems pacientams pasireiškia ūminiai reiškiniai – viso kūno kraujagyslėse susidaro kraujo krešulių. Krešuliai gali neleisti kraujui tekėti į organus ir juos pažeisti. Padidėjus kraujo krešumui, sumažėja trombocitų kiekis kraujyje (trombocitopenija) ir padidėja kraujavimo rizika. Pacientams taip pat susidaro kraujosruvų po oda (purpura), kurios atrodo kaip rausvi taškeliai. Sergant įTTP, raudonosios kraujo ląstelės suyra greičiau, nei organizmas gali jų pagaminti, todėl sumažėja raudonųjų kraujo ląstelių kiekis (mikroangiopatinė hemolizinė anemija) ir pasireiškia tokie simptomai kaip nuovargis, silpnumas ir dusulys.

įTTP laikoma reta liga, todėl 2008 m. gruodžio 3 d. Adzynma buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Adzynma sudėtyje yra veikliosios medžiagos rADAMTS13.

Kaip vartoti Adzynma?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi pradėti gydytojas, turintis hematologinių (kraujo) ligų gydymo patirties.

Adzynma leidžiamas į veną. TTP reiškinų profilaktikai vaisto leidžiama kartą per savaitę arba kas dvi savaites. Ūminiams TTP reiškiniams (kuriems būdinga trombocitopenija ir mikroangiopatinė hemolizinė anemija) gydyti vaisto skiriama kartą per parą; ūminių reiškinų gydymas pradedamas pirmą dieną jiems pasireiškus ir baigiamas praėjus 2 dienoms po jo.

Pacientai arba juos slaugantys asmenys, išmokyti su(si)leisti Adzynma, gali patys tai daryti.

Daugiau informacijos apie Adzynma vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Adzynma?

įTTP sergančių pacientų kraujyje yra per mažai fermento (tam tikros rūšies baltymo), vadinamo ADAMTS13. Šis fermentas skaido didelius kraujyje esančius baltymus, vadinamus von Vilebrando

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



faktoriumi. Nepašalinti iš kraujo šie dideli baltymai sulimpa su trombocitais sudarydami kraujo krešulius. Adzynma veiklioji medžiaga yra laboratorijoje gaminama ADAMTS13 versija (rADAMTS13). Ši medžiaga pakeičia trūkstamą fermentą ADAMTS13 ir skaido von Willebrando faktorių, neleisdama susidaryti kraujo krešuliams ir kraujosruvoms ir pasireikšti kraujavimui ir anemijai.

Kokia Adzynma nauda nustatyta tyrimų metu?

Adzynma, kaip profilaktinės priemonės nuo TTP reiškinių, nauda buvo vertinama pagrindiniame tyrime su 48 vaikais ir jaunesniais nei 70 metų suaugusiais, sergančiais sunkia įTTP. Tyrimas buvo padalintas į tris 6 mėnesių trukmės laikotarpius. Per pirmąjį laikotarpį pacientams TTP reiškinių profilaktikai buvo skiriamas Adzynma arba įprastas gydymas (paprastai šviežiai šaldyta plazma). Atsižvelgiant į ankstesnį gydymo grafiką, pacientui vaisto buvo skiriama kartą per savaitę arba kas dvi savaites. Antruoju laikotarpiu pacientai, kuriems pirma buvo skirtas įprastas gydymas, perėjo prie Adzynma, o iš pradžių Adzynma gydytiems pacientams skirtas įprastas gydymas. Trečiuoju laikotarpiu visi pacientai vartojo Adzynma.

Pacientų, kuriems tyrimo metu buvo taikomas įprastas gydymas, grupėje pasireiškė vienas ūminis TTP reiškinys, o Adzynma vartojusių pacientų grupėje tokių reiškinių nebuvo; kadangi šis skaičius buvo nedidelis, nebuvo galima padaryti išvados dėl Adzynma veiksmingumo gydant ūminius TTP reiškinius. Tačiau tyrimas parodė, kad kiti ligos simptomai, kaip antai trombocitopenija ir mikroangiopatinė hemolizinė anemija, Adzynma gydomiems pacientams pasireiškė rečiau, nei pacientams, kuriems taikytas įprastas gydymas.

Tyrime taip pat dalyvavo 5 įTTP sergantys pacientai, kuriems, pasireiškus ūminiam TTP reiškiniui, skirta Adzynma arba įprastas gydymas. Tyrimo metu vienas ūminis TTP reiškinys sėkmingai suvaldytas skiriant Adzynma, o vienas – taikant įprastą paciento gydymą. Abu ūminiai reiškiniai išnyko per 3 gydymo dienas.

Kokia rizika susijusi su Adzynma vartojimu?

Išsamų visų Adzynma šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Adzynma šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas, viduriavimas, galvos svaigimas, viršutinių kvėpavimo takų (nosies ir gerklės) infekcija, pykinimas ir migrena.

Kodėl Adzynma buvo registruotas ES?

Tuo metu, kai vaistas buvo registruojamas, įTTP sergantiems pacientams tinkamų gydymo būdų nebuvo. Gydymo Adzynma tikslas – pakeisti trūkstamą ADAMTS13 panašiu laboratorijoje pagamintu fermentu. Nors tyrimų duomenys nesuteikia pakankamai įrodymų, kad vaistas padeda išvengti ūminių TTP reiškinių, turimi laboratoriniai tyrimų duomenys, žinios apie tai, kaip vaistas veikia organizme, ir duomenys, rodantys, kad Adzynma vartojančių pacientų įTTP simptomai silpnėja, rodo, kad gydymas gali būti veiksmingas. Adzynma šalutinis poveikis laikomas priimtiniu.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Adzynma nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Adzynma registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl labai nedidelio įTTP sergantiems pacientams pasireiškiančių ūminių TTP reiškinių kiekio išsamios informacijos apie Adzynma nebuvo įmanoma gauti. Bendrovė turi pateikti daugiau duomenų apie Adzynma. Ji turi pateikti išsamius 3 tyrimų, kuriuose vertinamas Adzynma saugumas ir veiksmingumas, rezultatus. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Adzynma vartojimą?

Adzynma prekiaujanti bendrovė pateiks sveikatos priežiūros specialistams skirtą vadovą ir pacientams skirtą įspėjamąją kortelę, kuriuose bus paaiškinta, kaip valdyti alergines reakcijas į Adzynma, kai vaistas leidžiamas namuose.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Adzynma vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Adzynma vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Adzynma šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Adzynma

Daugiau informacijos apie Adzynma rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.