



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332076/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Adzynma pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Adzynma ir zāles, ko lieto, lai ārstētu bērnus un pieaugušos ar iedzimtu trombotisku trombocitopēnisko purpuru (*cTTP*), kas ir iedzimta slimība, kuru izraisa mutācijas (izmaiņas) *ADAMTS13* gēnā. Pacientiem ar šo slimību ir akūtas epizodes, kad organismā veidojas tromboze (asins recekļi) mazajos asinsvados. Trombi var kavēt asins plūsmu uz orgāniem un izraisīt bojājumus. Pastiprinātas recēšanas dēļ asinīs trūkst trombocītu (trombocitopēnija), kas palielina asiņošanas risku. Pacientiem ir arī nelielas asiņošanas zem ādas, kas izpaužas kā violeti plankumi (purpura). *cTTP* arī izraisa sarkano asinsķermenīšu noārdīšanos organismā ātrāk, nekā organisms spēj tos izveidot, samazinot sarkano asinsķermenīšu līmeni (mikroangiopātiska hemolītiskā anēmija), kuras simptomi ir nogurums, vājums un elpas trūkums.

cTTP ir "reta", un 2008. gada 3. decembrī *Adzynma* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

Adzynma satur aktīvo vielu *rADAMTS13*.

Kā lieto *Adzynma*?

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzsāk ārstam ar pieredzi hematoloģisku (ar asinīm saistītu) slimību ārstēšanā.

Adzynma tiek ievadītas injekcijas veidā vēnā. *TTP* epizožu profilaksei tās ievada vienreiz nedēļā vai reizi divās nedēļās. Lai pēc pieprasījuma ārstētu akūtas *TTP* epizodes (ko raksturo trombocitopēnija un mikroangiopātiskā hemolītiskā anēmija), tās ievada vienreiz dienā; akūtu epizožu ārstēšana jāsāk pirmās epizodes dienā un jāpārtrauc divas dienas pēc tās beigām.

Ja pacienti vai viņu aprūpētāji ir apmācīti to darīt, viņi var paši injicēt *Adzynma*.

Papildu informāciju par *Adzynma* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Adzynma* darbojas?

Pacientiem ar *cTTP* asinīs ir pārāk maz enzīma (proteīna veida), ko dēvē par *ADAMTS13*. Šis enzīms noārda lielus proteīnus asinīs, un to dēvē par Villebranda faktoru. Ja šīs lielās olbaltumvielas netiek

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



izvadītas, tās salīp kopā ar trombocītiem un veido asins recekļus. *Adzynma* aktīvā viela ir *ADAMTS13* (*rADAMTS13*) versija, kas iegūta laboratorijā. Tas aizstāj trūkstošo *ADAMTS13* enzīmu un noārda Villebranda faktoru, tādējādi novēršot asins recekļu veidošanos, zilumu veidošanos, asiņošanu un anēmiju.

Kādi *Adzynma* ieguvumi atklāti pētījumos?

Adzynma ieguvumus TTP epizožu profilaktiskas terapijas veidā novērtēja pamatpētījumā, iesaistot 48 bērnus un pieaugušos vecumā līdz 70 gadiem ar smagu *cTTP*. Pētījums tika sadalīts trīs sešu mēnešu periodos. Pirmajā periodā pacientiem vai nu tika ievadīta *Adzynma*, vai arī viņi saņēma standarta terapiju (bieži vien svaigu, saldētu plazmu), lai novērstu TTP epizodes. Atkarībā no iepriekšējās terapijas shēmas pacienti saņēma terapiju vai nu vienreiz nedēļā, vai ik pēc divām nedēļām. Otrajā periodā pacienti, kuri pirmo reizi saņēma standarta terapiju, pārgāja uz *Adzynma*, un tie, kuri sākotnēji saņēma *Adzynma*, tagad saņēma standarta terapiju. Trešajā periodā visi pacienti lietoja *Adzynma*.

Viena akūta TTP epizode tika novērota pacientu grupā, kas saņēma standarta terapiju pētījuma laikā, un neviena grupā, kurā lietoja *Adzynma*; tā kā šis skaits bija mazs, nebija iespējams secināt, vai *Adzynma* var ārstēt akūtas TTP epizodes. Tomēr pētījumā pierādīja, ka citus slimības simptomus, piemēram, trombocitopēniju un mikroangiopātiskas hemolītiskās anēmijas gadījumus, novēroja retāk pacientiem, kuri lietoja *Adzynma*, nekā pacientiem, kuri saņēma standarta terapiju.

Pētījumā piedalījās arī pieci *cTTP* pacienti, kuri pēc pieprasījuma saņēma *Adzynma* vai savu standarta terapiju, kad viņiem bija akūta TTP epizode. Pētījumā vienu akūtu TTP epizodi veiksmīgi ārstēja ar *Adzynma*, bet vienu – ar pacienta standarta terapiju. Abas akūtās epizodes tika novērstas trīs dienu laikā pēc terapijas.

Kāds risks pastāv, lietojot *Adzynma*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Adzynma*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Adzynma* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir galvassāpes, caureja, reibonis, augšējo elpceļu (deguna un rīkles) infekcija, slikta dūša (nelabums) un migrēna.

Kāpēc *Adzynma* ir reģistrētas ES?

Apstiprināšanas laikā pacientiem ar *cTTP* nebija pieejama apmierinoša terapija. *Adzynma* mērķis ir aizvietot trūkstošo *ADAMTS13* ar līdzīgu šī enzīma versiju, kas izstrādāta laboratorijā. Lai gan pētījumu dati nesniedz pietiekamus pierādījumus, ka zāles efektīvi novērš akūtas TTP epizodes, ir pieejama informācija, kas iegūta, veicot laboratoriskos pētījumus, zināšanas par zāļu darbību organismā un dati, kas liecina par *cTTP* simptomu mazināšanos pacientiem, kuri lieto *Adzynma*. Tās visas norāda, ka terapija varētu būt efektīva. Tika uzskatīts, ka *Adzynma* blakusparādības ir pieņemamas.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Adzynma*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Adzynma ir reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar ļoti nelielu akūtu TTP epizožu skaitu *cTTP* slimniekiem nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Adzynma*. Uzņēmumam ir jāiesniedz papildu dati par *Adzynma*. Tai jāiesniedz pilnīgi trīs pētījumu rezultāti par *Adzynma* drošumu un efektivitāti. Aģentūra katru gadu pārskatīs visu pieejamo jauno informāciju.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Adzynma* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Adzynma*, izsniegs vadlīnijas veselības aprūpes speciālistiem un brīdinājuma karti pacientiem, tostarp informāciju par to, kā kontrolēt alerģiskas reakcijas uz *Adzynma*, ja zāles tiek injicētas mājās.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Adzynma* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Adzynma* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Adzynma* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Adzynma*

Sīkāka informācija par *Adzynma* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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