



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332077/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Ħarsa ġenerali lejn Adzynma u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

Adzynma huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' tfal u adulti b'purpura tromboċitopenika trombotika kongenitali (cTTP), marda ereditarja kkawżata minn mutazzjonijiet (bidliet) fil-ġene *ADAMTS13*. Il-pazjenti b'din il-marda ikollhom episodji akuti fejn it-trombożi (koagulazzjoni tad-demmm) tiġi ffurmata f'vażijiet żgħira fil-ġisem kollu tagħhom. Il-koagulazzjoni tista' tfixxkel il-fluss tad-demmm lejn l-organi u tikkawża ħsara. Iż-żieda fil-koagulazzjoni tad-demmm tirriżulta f'nuqqas ta' pjastrini fid-demmm (tromboċitopenija), u b'hekk jiżdied ir-riskju ta' fsada. Il-pazjenti jkollhom ukoll fsada żgħira taħt il-ġilda li jidhru b'ħala ponot vjola (purpura). cTTP iġġiegħel ukoll lill-ġisem iktar iċ-ċelloli ħomor tad-demmm aktar malajr milli l-ġisem ikun jista' jagħmilhom, b'hekk jitbaxxa l-livell taċ-ċelloli ħomor tad-demmm (anemija emolitika mikroanġjopatika), b'sintomi li jinkludu gheja, dgħufija u qtugħ ta' nifs.

cTTP hija rari u Adzynma ġie denominat b'ħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-3 ta' Diċembru 2008. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Adzynma fih is-sustanza attiva *rADAMTS13*.

Kif jintuża Adzynma?

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jinbeda minn tabib b'esperjenza f'mard ematologiku (relatat mad-demmm).

Adzynma jingħata b'ħala injezzjoni fil-vina. Għall-prevenzjoni ta' episodji ta' TTP, jingħata darba fil-ġimgħa jew kull ġimagħtejn. Għal trattament fuq talba ta' episodji akuti ta' TTP (ikkaratterizzati minn tromboċitopenija u anemija emolitika mikroanġjopatika) jingħata darba kuljum; it-trattament ta' episodji akuti għandu jinbeda fl-ewwel jum tal-episodju u jispiċċa jumejn wara li jintemm.

Il-pazjenti jew dawk li jieħdu ħsiebhom jistgħu jinjettaw Adzynma huma stess ladarba jkun għew imħarrġa biex jagħmlu dan.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Adzynma, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif jaħdem Adzynma?

Pazjenti b'cTTP għandhom f'tit wisq minn enzima (tip ta' proteina) li tissejjaħ *ADAMTS13* fid-demmm tagħhom. Din l-enzima tkisser proteini kbar fid-demmm imsejjaħ l-fattur ta' von Willebrand. Meta dawn

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



il-proteini l-kbar ma jitnehhewx, jagħqdu bil-pjastrini tad-demmm u jiffurmaw koagulazzjoni tad-demmm. Is-sustanza attiva f'Adzynma hija verżjoni ta' ADAMTS13 (rADAMTS13) li tiġi prodotta f'laboratorju. Din tissostitwixxi l-enzima ADAMTS13 nieqsa u tkisser il-fattur ta' von Willebrand, u b'hekk tipprevjeni l-formazzjoni ta' emboli tad-demmm, tbenġil, koagulazzjoni u anemija.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Adzynma li ħarġu mill-istudji?

Il-benefiċċji ta' Adzynma bħala trattament preventiv għal episodji ta' TTP ġew ivvalutati fi studju ewlieni li kien jinvolvi 48 tifel u tifla u adulti li kellhom mhux aktar minn 70 sena b'cTTP severa. L-istudju nqasam fi tliet perjodi ta' 6 xhur. Matul l-ewwel perjodu, il-pazjenti jew ingħataw Adzynma jew it-trattament tas-soltu tagħhom (ħafna drabi plażma friska li tiġi ffrizata) għall-prevenzjoni ta' episodji ta' TTP. Skont l-iskeda ta' trattament preċedenti tagħhom, huma rċewew trattament darba fil-ġimgħa jew kull ġimgħatejn. Matul it-tieni perjodu, il-pazjenti li l-ewwel ingħataw it-trattament tas-soltu tagħhom qalbu għal Adzynma u dawk li inizjalment ingħataw Adzynma issa rċewew it-trattament tas-soltu tagħhom. Matul it-tielet perjodu, il-pazjenti kollha ħadu Adzynma.

Episodju akut wieħed ta' TTP seħħ fil-grupp ta' pazjenti li ngħataw it-trattament tas-soltu tagħhom matul l-istudju u l-ebda wieħed fil-grupp li kien qed jieħu Adzynma; minħabba li dan l-għadd kien baxx, ma kienx possibbli li jiġi konkluż jekk Adzynma jistax jittratta episodji akuti ta' TTP. Madankollu, l-istudju wera li sintomi oħra tal-marda, bħal trombocitopenija u episodji ta' anemija emolitika mikroangjopatika, deheru inqas ta' spiss f'pazjenti li ngħataw Adzynma milli f'pazjenti li ngħataw it-trattament tas-soltu tagħhom.

L-istudju kien jinvolvi wkoll 5 pazjenti b'cTTP li ngħataw Adzynma fuq talba jew it-trattament tas-soltu tagħhom meta kellhom episodju ta' TTP akut. Fl-istudju, episodju wieħed ta' TTP akut ġie ttrattat b'suċċess b'Adzynma u wieħed bit-trattament tas-soltu tal-pazjent. Iż-żewġ episodji akuti ġew riżolti fi żmien 3 ijiem ta' trattament.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Adzynma?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Adzynma, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Adzynma (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu wġiġh ta' ras, dijarea, sturdament, infezzjoni tal-apparat respiratorju ta' fuq (imnieher u griżmejn), dardir (tħossok ma tiflaħx) u emikranja.

Għaliex Adzynma ġie awtorizzat fl-UE?

Fiż-żmien tal-approvazzjoni, ma kien disponibbli l-ebda trattament sodisfaċenti għall-pazjenti b'cTTP. Adzynma għandu l-għan li jissostitwixxi l-ADAMTS13 nieqsa b'verżjoni simili ta' din l-enzima magħmula fil-laboratorju. Għalkemm id-*data* tal-istudju ma tipprovdix biżżejjed evidenza li l-medicina hija effettiva fil-prevenzjoni ta' episodji ta' TTP akuti, hemm informazzjoni disponibbli minn studji tal-laboratorju, għarfien dwar kif il-medicina tagħxi fil-ġisem u *data* li turi tnaqqis fis-sintomi ta' cTTP f'pazjenti li jieħdu Adzynma. Dawn kollha jindikaw li t-trattament jista' jkun effettiv. L-effetti sekondarji ta' Adzynma kienu kkunsidrati aċċettabbli.

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Adzynma huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Adzynma ġie awtorizzat taħt "ċirkostanzi eċċezzjonali". Dan minħabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompleta dwar Adzynma minħabba l-għadd baxx ħafna ta' avvenimenti ta' TTP akuti f'pazjenti b'cTTP. Il-kumpanija għandha tipprovd *data* ulterjuri dwar Adzynma. Għandha tissottometti

r-riżultati kompleti ta' 3 studji dwar is-sigurtà u l-effikaċja ta' Adzynma. Kull sena, l-Aġenzija se tirreżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Adzynma?

Il-kumpanija li tqiegħed Adzynma fis-suq se tipprovdi gwida lill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u kard ta' twissija lill-pazjenti inkluża informazzjoni dwar kif għandhom jiġu mmaniġġjati r-reazzjonijiet allergiċi għal Adzynma meta l-medicina tiġi injettata d-dar.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Adzynma.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Adzynma hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Adzynma huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Adzynma

Aktar informazzjoni dwar Adzynma tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.