



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332079/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Przegląd wiedzy na temat leku Adzynma i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Lek Adzynma jest lekiem stosowanym w leczeniu dzieci i dorosłych z wrodzoną zakrzepową plamicą małopłytkową (ang. *congenital thrombotic thrombocytopenic purpura*, cTTP), chorobą dziedziczną wywoływaną przez mutacje (zmiany) w genie *ADAMTS13*. U pacjentów z tą chorobą dochodzi do ostrych epizodów zakrzepicy (zakrzepów krwi) w małych naczyniach krwionośnych w całym organizmie. Zakrzepy mogą utrudniać przepływ krwi do narządów i powodować uszkodzenia. Wydłużony czas krzepnięcia prowadzi do niedoboru płytek krwi (małopłytkowości), co zwiększa ryzyko wystąpienia krwawień. Pacjenci mają również niewielkie krwawienia podskórne, które mają postać fioletowych plam (plamicy). cTTP sprawia również, że czerwone krwinki rozpadają się szybciej niż organizm może je wytwarzać, obniżając ich poziom (niedokrwistość hemolityczna mikroangiopatyczna), skutkując objawami takimi jak zmęczenie, osłabienie i duszność.

Ze względu na to, że cTTP rzadko występuje, lek Adzynma w dniu 3 grudnia 2008 r. uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Adzynma jest *rADAMTS13*.

Jak stosować lek Adzynma

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz mający doświadczenie w leczeniu zaburzeń hematologicznych (związanych z krwią).

Lek Adzynma podaje się podaje się we wstrzyknięciu dożylnym. W celu zapobiegania epizodom TTP lek podaje się raz na tydzień lub co dwa tygodnie. W terapii na żądanie (ang. *on-demand*) w przypadku ostrych epizodów TTP (charakteryzujących się małopłytkowością i niedokrwistością hemolityczną mikroangiopatyczną) lek podaje się raz na dobę; leczenie ostrych epizodów powinno rozpocząć się pierwszego dnia epizodu i zakończyć dwa dni po jego zakończeniu.

Po odpowiednim przeszkoleniu pacjenci lub ich opiekunowie mogą samodzielnie wykonywać wstrzyknięcia leku Adzynma.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Adzynma znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.



Jak działa lek Adzynma

Pacjenci z cTTP mają w swojej krwi zbyt mało enzymu (rodzaju białka) o nazwie ADAMTS13. Enzym ten powoduje rozpad dużych białek we krwi o nazwie czynnik von Willebranda. Gdy te duże białka nie są usuwane, łączą się z płytkami krwi i tworzą zakrzepy krwi. Substancja czynna leku Adzynma jest wersją ADAMTS13 (rADAMTS13), która jest wytwarzana w laboratorium. Zastępuje ona brakujący enzym ADAMTS13 i rozkłada czynnik von Willebranda, zapobiegając w ten sposób tworzeniu się skrzepów krwi, siniaków, krwawień i niedokrwistości.

Korzyści ze stosowania leku Adzynma wykazane w badaniach

Korzyści ze stosowania leku Adzynma jako profilaktycznego leczenia epizodów TTP oceniono w badaniu głównym z udziałem 48 dzieci i dorosłych w wieku do 70 lat z ciężką postacią cTTP. Badanie podzielono na trzy sześciomiesięczne okresy. W pierwszym okresie pacjentom podawano lek Adzynma lub stosowano leczenie standardowe (często świeżo mrożone osocze) w celu zapobiegania epizodom TTP. W zależności od ich wcześniejszego harmonogramu leczenia, otrzymywali oni lek raz w tygodniu lub co dwa tygodnie. W drugim okresie pacjentów, u których na początku stosowano leczenie standardowe, przestawiono na lek Adzynma, a pacjenci, u których początkowo stosowano lek Adzynma, zaczęli stosować leczenie standardowe. W trzecim okresie wszyscy pacjenci przyjmowali lek Adzynma.

W grupie pacjentów, u których stosowano leczenie standardowe w trakcie badania wystąpił jeden ostry epizod TTP, a żadnego epizodu nie odnotowano w grupie przyjmującej lek Adzynma; z uwagi na małą liczbę epizodów TTP nie można było stwierdzić, czy można stosować lek Adzynma w leczeniu ostrych epizodów TTP. W badaniu wykazano jednak, że inne objawy choroby, takie jak małopłytkowość i epizody niedokrwistości hemolitycznej mikroangiopatycznej, występowały rzadziej u pacjentów przyjmujących lek Adzynma niż u pacjentów, u których stosowano leczenie standardowe.

W badaniu wzięło udział również 5 pacjentów z cTTP, którym podawano lek Adzynma na żądanie lub, u których stosowano leczenie standardowe w przypadku wystąpienia ostrego epizodu TTP. W badaniu jeden ostry epizod TTP z powodzeniem wyleczono z zastosowaniem leku Adzynma, a drugi – z zastosowaniem leczenia standardowego pacjenta. Oba ostre epizody ustąpiły w ciągu 3 dni od leczenia.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Adzynma

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Adzynma znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Adzynma (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy, biegunka, zawroty głowy, zakażenie górnych dróg oddechowych (nosa i gardła), nudności (mdłości) i migrena.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Adzynma w UE

W momencie dopuszczenia leku do obrotu brak było terapii, której wyniki byłyby zadowalające dla pacjentów z cTTP. Celem leku Adzynma jest zastąpienie brakującego enzymu ADAMTS13 podobną wersją tego enzymu wytwarzaną w laboratorium. Chociaż dane z badań nie dostarczają wystarczających dowodów na to, że lek jest skuteczny w zapobieganiu ostrym epizodom TTP, dostępne są informacje z badań laboratoryjnych, wiedza o tym, jak lek zachowuje się w organizmie, oraz dane wskazujące na zmniejszenie objawów cTTP u pacjentów przyjmujących lek Adzynma. Wszystko to sugerowałoby, że leczenie może być skuteczne. Działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Adzynma uznano za możliwe do zaakceptowania.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści ze stosowania leku Adzynma przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Adzynma dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że uzyskanie pełnych informacji na temat leku Adzynma nie było możliwe ze względu na bardzo małą liczbę ostrych epizodów TTP u pacjentów z cTTP. Firma musi dostarczyć dalszych danych dotyczących leku Adzynma. Należy przedłożyć pełne wyniki 3 badań dotyczących bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku Adzynma. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Adzynma

Firma, która wprowadza lek Adzynma do obrotu, udostępni przewodnik dla fachowego personelu medycznego oraz kartę ostrzegawczą dla pacjentów zawierającą informacje na temat kontrolowania reakcji alergicznych po podaniu leku Adzynma w warunkach domowych.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Adzynma w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Adzynma są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Adzynma są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Adzynma

Dalsze informacje dotyczące leku Adzynma znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.