



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332058/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Um resumo sobre Adzynma e por que está autorizado na UE

Adzynma é um medicamento utilizado no tratamento de crianças e adultos com púrpura trombocitopénica trombótica congénita (PTTc), uma doença hereditária causada por mutações (alterações) no gene *ADAMTS13*. Os doentes com esta doença apresentam episódios agudos em que se formam trombozes (coágulos sanguíneos) em pequenos vasos sanguíneos em todo o seu corpo. Os coágulos podem dificultar o fluxo sanguíneo para os órgãos e causar danos. O aumento da coagulação resulta na escassez de plaquetas no sangue (trombocitopenia), aumentando o risco de hemorragias. Os doentes também apresentam pequenas hemorragias sob a pele que aparecem como manchas púrpura. A PTTc também faz com que o organismo decomponha os glóbulos vermelhos mais rapidamente do que o organismo os consegue produzir, reduzindo o nível de glóbulos vermelhos (anemia hemolítica microangiopática), com sintomas que incluem fadiga, fraqueza e falta de ar.

A PTTc é uma doença rara, e Adzynma foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 3 de dezembro de 2008. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web](#) da EMA.

Adzynma contém a substância ativa rADAMTS13.

Como se utiliza Adzynma?

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento de doenças hematológicas (relacionadas com o sangue).

Adzynma é administrado por injeção numa veia. Para a prevenção de episódios de PTT, é administrado uma vez por semana ou a cada duas semanas. Para o tratamento profilático de episódios agudos de PTT (caracterizados por trombocitopenia e anemia hemolítica microangiopática), é administrado uma vez por dia; o tratamento de episódios agudos deve ter início no primeiro dia do episódio e terminar 2 dias após o seu término.

Os doentes ou os seus cuidadores poderão administrar a injeção de Adzynma depois de receberem formação adequada.

Para mais informações sobre a utilização de Adzynma, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.



Como funciona Adzynma?

Os doentes com PTTc têm falta de uma enzima (um tipo de proteína) denominada ADAMTS13 no sangue. Esta enzima decompõe grandes proteínas no sangue denominadas fator de von Willebrand. Quando estas grandes proteínas não são removidas, juntam-se a plaquetas sanguíneas e formam coágulos sanguíneos. A substância ativa de Adzynma é uma versão da ADAMTS13 (rADAMTS13) que é produzida em laboratório. Substitui a enzima ADAMTS13 em falta e decompõe o fator de von Willebrand, impedindo assim a formação de coágulos de sangue, hematomas, hemorragias e anemia.

Quais os benefícios demonstrados por Adzynma durante os estudos?

Os benefícios de Adzynma como tratamento preventivo para episódios de PTT foram avaliados num estudo principal que incluiu 48 crianças e adultos com idade até aos 70 anos com PTTc grave. O estudo foi dividido em três períodos de 6 meses. Durante o primeiro período, os doentes receberam Adzynma ou o seu tratamento habitual (frequentemente, plasma fresco congelado) para prevenir episódios de PTT. Em função do calendário de tratamento anterior, receberam tratamento uma vez por semana ou a cada duas semanas. Durante o segundo período, os doentes que receberam primeiro o tratamento habitual mudaram para Adzynma e os que receberam inicialmente Adzynma receberam o tratamento habitual. Durante o terceiro período, todos os doentes tomaram Adzynma.

Ocorreu um episódio agudo de PTT no grupo de doentes que receberam o tratamento habitual durante o estudo e não ocorreu nenhum no grupo que tomou Adzynma; este valor foi demasiado baixo para permitir concluir se Adzynma consegue tratar episódios agudos de PTT. No entanto, o estudo demonstrou que foram observados com menos frequência outros sintomas da doença, tais como trombocitopenia e acontecimentos de anemia hemolítica microangiopática, nos doentes que receberam Adzynma do que nos doentes que receberam o tratamento habitual.

O estudo também incluiu 5 doentes com PTTc que receberam profilaticamente Adzynma ou o tratamento habitual quando tiveram um episódio agudo de PTT. No estudo, um episódio agudo de PTT foi tratado com êxito com Adzynma e outro com o tratamento habitual do doente. Ambos os episódios agudos foram resolvidos no prazo de 3 dias após o tratamento.

Quais são os riscos associados a Adzynma?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Adzynma, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Adzynma (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem dor de cabeça, diarreia, tonturas, infeção do trato respiratório superior (nariz e garganta), náuseas (sensação de enjoo) e enxaqueca.

Por que está Adzynma autorizado na UE?

No momento da aprovação, não estava disponível nenhum tratamento satisfatório para os doentes com PTTc. Adzynma pretende substituir a ADAMTS13 em falta por uma versão semelhante desta enzima produzida em laboratório. Embora os dados do estudo não forneçam provas suficientes de que o medicamento é eficaz na prevenção de episódios agudos de PTT, existem informações provenientes de estudos laboratoriais, conhecimentos sobre a forma como o medicamento se comporta no organismo e dados que mostram uma redução dos sintomas de PTTc em doentes que tomaram Adzynma. Todos estes dados indicam que o tratamento pode ser eficaz. Os efeitos secundários de Adzynma foram considerados aceitáveis.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Adzynma são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Adzynma foi autorizado em circunstâncias excecionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Adzynma devido ao número muito reduzido de acontecimentos agudos de PTT em doentes com PTTc. A empresa terá de fornecer dados adicionais sobre Adzynma, devendo apresentar os resultados completos de 3 estudos sobre a segurança e a eficácia de Adzynma. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Adzynma?

A empresa que comercializa Adzynma fornecerá um guia aos profissionais de saúde e um cartão de alerta aos doentes, incluindo informações sobre como gerir as reações alérgicas a Adzynma quando o medicamento é injetado em casa.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Adzynma.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Adzynma são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Adzynma são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Adzynma

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.