



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332059/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Prezentare generală a Adzynma și motivele autorizării medicamentului în UE

Adzynma este un medicament utilizat pentru tratarea copiilor și adulților cu purpură trombocitopenică congenitală (PTTc), o boală moștenită cauzată de mutații (modificări) ale genei *ADAMTS13*. Pacienții cu această boală au episoade acute în care se formează trombusuri (cheaguri de sânge) în vasele mici de sânge din întregul organism. Cheagurile pot afecta circulația sângelui la organe și pot provoca leziuni. Coagularea excesivă duce la un deficit de trombocite în sânge (trombocitopenie), ceea ce mărește riscul de sângerare. Pacienții au și mici sângeri sub piele care apar ca pete purpurii (purpură). PTTc determină, de asemenea, descompunerea globulelor roșii mai repede decât le poate produce organismul, reducând concentrația de globule roșii din sânge (anemie hemolitică microangiopatică), cu simptome precum oboseală, slăbiciune și scurtarea respirației.

PTTc este rară, iar Adzynma a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 3 decembrie 2008. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul EMA](https://www.ema.europa.eu/en/about-us/orphan).

Adzynma conține substanța activă *rADAMTS13*.

Cum se utilizează Adzynma?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în boli hematologice (ale sângelui).

Adzynma se administrează sub formă de injecție intravenoasă (în venă). Pentru prevenirea episoadelor de PTT, medicamentul se administrează o dată pe săptămână sau o dată la două săptămâni. Pentru tratamentul la cerere al episoadelor acute de PTT (caracterizate prin trombocitopenie și anemie hemolitică microangiopatică), medicamentul se administrează o dată pe zi; tratamentul episoadelor acute trebuie să înceapă în prima zi a episodului și să se încheie la 2 zile după terminarea acestuia.

Pacienții sau îngrijitorii lor pot administra ei înșiși injecția cu Adzynma după ce au fost instruiți în acest sens.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Adzynma, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



Cum acționează Adzynma?

Pacienții cu PTTc au în sânge prea puțină enzimă (un tip de proteină) numită ADAMTS13. Această enzimă descompune proteinele mari din sânge, numite factorul von Willebrand. Când nu sunt îndepărtate, aceste proteine mari se adună cu trombocitele și formează cheaguri de sânge. Substanța activă din Adzynma este o versiune a ADAMTS13 (rADAMTS13) care este produsă în laborator. Suplinește enzima ADAMTS13 care lipsește și descompune factorul von Willebrand, împiedicând astfel formarea de cheaguri de sânge, vânătăi, sângerări și anemie.

Ce beneficii a prezentat Adzynma pe parcursul studiilor?

Beneficiile Adzynma ca tratament profilactic pentru episoadele de PTT au fost evaluate într-un studiu principal care a cuprins 48 de copii și adulți cu vârsta de cel mult 70 de ani cu PTTc severă. Studiul a fost împărțit în trei perioade de 6 luni. În prima perioadă, pentru a preveni episoadele de PTT, pacienții au primit fie Adzynma, fie tratamentul lor obișnuit (adesea plasmă proaspătă congelată). În funcție de schema de tratament anterioară, pacienții au făcut tratament fie o dată pe săptămână, fie o dată la două săptămâni. În a doua perioadă, pacienții cărora li s-a administrat inițial tratamentul obișnuit au trecut la Adzynma și cei cărora li s-a administrat inițial Adzynma au făcut acum tratamentul obișnuit. În a treia perioadă, toți pacienții au luat Adzynma.

Un episod acut de PTT a avut loc în grupul de pacienți cărora li s-a administrat tratamentul obișnuit în timpul studiului și niciunul în grupul care a luat Adzynma; din cauza numărului mic, nu s-a putut concluziona dacă Adzynma poate trata episoadele acute de PTT. Cu toate acestea, studiul a arătat că alte simptome ale bolii, cum ar fi evenimentele de trombocitopenie și de anemie hemolitică microangiopatică, s-au observat mai rar la pacienții cărora li s-a administrat Adzynma decât la cei cărora li s-a administrat tratamentul obișnuit.

Studiul a cuprins și 5 pacienți cu PTTc cărora li s-a administrat la cerere Adzynma sau tratamentul lor obișnuit în timpul unui episod acut de PTT. În cadrul studiului, un episod acut de PTT a fost tratat cu succes cu Adzynma, iar altul cu tratamentul obișnuit al pacientului. Ambele episoade acute s-au rezolvat în decurs de 3 zile de la tratament.

Care sunt riscurile asociate cu Adzynma?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Adzynma, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Adzynma (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri de cap, diaree, amețeli, infecții ale căilor respiratorii superioare (ale nasului și gâtului), greață și migrenă.

De ce a fost autorizat Adzynma în UE?

La momentul aprobării, nu era disponibil niciun tratament satisfăcător pentru pacienții cu PTTc. Adzynma urmărește să înlocuiască ADAMTS13 lipsă cu o versiune similară a acestei enzime, produsă în laborator. Deși datele studiului nu oferă dovezi suficiente că medicamentul este eficient în prevenirea episoadelor acute de PTT, există informații disponibile din studiile de laborator, cunoștințe privind comportamentul medicamentului în organism și date care indică o reducere a simptomelor PTTc la pacienții care iau Adzynma. Toate acestea arată că tratamentul ar putea fi eficient. Reacțiile adverse asociate cu Adzynma au fost considerate acceptabile.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Adzynma sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Adzynma a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza numărului foarte mic de evenimente acute de PTT la pacienți cu PTTc, nu s-au putut obține informații complete despre Adzynma. Compania trebuie să furnizeze date suplimentare despre Adzynma. Trebuie să prezinte rezultatele complete din trei studii privind siguranța și eficacitatea Adzynma. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Adzynma?

Compania care comercializează Adzynma va furniza un ghid pentru personalul medical și un card de avertizare pentru pacienți, inclusiv informații privind modul de gestionare a reacțiilor alergice la Adzynma atunci când medicamentul este injectat acasă.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Adzynma, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Adzynma sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Adzynma sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Adzynma

Mai multe informații despre Adzynma se pot găsi pe site-ul agenției:

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