



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332060/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Prehľad o lieku Adzynma a prečo bol povolený v EÚ

Liek Adzynma sa používa na liečbu detí a dospelých s vrodenou trombotickou trombocytopenickou purpurou (cTTP), dedičným ochorením spôsobeným mutáciami (zmenami) v géne *ADAMTS13*. Pacienti s týmto ochorením majú akútne epizódy, pri ktorých sa trombóza (krvné zrazeniny) vytvára v malých krvných cievach v celom tele. Zrazeniny môžu brániť prietoku krvi do orgánov a spôsobiť poškodenie. Zvýšené zrážanie má za následok nedostatok krvných doštičiek v krvi (trombocytopénia), čím sa zvyšuje riziko krvácania. U pacientov takisto dochádza k malému podkožnému krvácaniu, ktoré sa objavuje ako purpurové škvrny (purpura). cTTP takisto spôsobuje, že telo rozkladá červené krvinky rýchlejšie ako ich dokáže vytvárať, čím sa znižuje hladina červených krviniek (mikroangiopatická hemolytická anémia), pričom medzi príznaky patrí únava, slabosť a dýchavičnosť.

cTTP je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Adzynma 3. decembra 2008 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Adzynma obsahuje liečivo rADAMTS13.

Ako sa liek Adzynma používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s hematologickými ochoreniami (súvisiacimi s krvou).

Liek Adzynma sa podáva formou injekcie do žily. Na prevenciu epizód TTP sa liek podáva raz týždenne alebo každé dva týždne. V prípade liečby akútnych epizód TTP podľa potreby (charakterizovaných trombocytopéniou a mikroangiopatickou hemolytickou anémiou) sa liek podáva jedenkrát denne. Liečba akútnych epizód sa má začať v prvý deň epizódy a skončiť 2 dni po jej skončení.

Pacienti alebo ich opatrovatelia môžu po zaškolení podávať liek Adzynma sami.

Viac informácií o používaní lieku Adzynma si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Adzynma účinkuje?

Pacienti s cTTP majú v krvi príliš málo enzýmu (druh proteínu) nazývaného ADAMTS13. Tento enzým rozkladá veľké proteíny v krvi, ktoré sa nazývajú von Willebrandov faktor. Ak sa tieto veľké proteíny

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



neodstránia, zhlukujú sa s krvnými doštičkami a vytvárajú krvné zrazeniny. Liečivo lieku Adzynma je verzia ADAMTS13 (rADAMTS13), ktorá sa vyrába v laboratóriu. Nahrádza chýbajúci enzým ADAMTS13 a rozkladá von Willebrandov faktor, čím bráni tvorbe krvných zrazenín, modrín, krvácaniu a anémii.

Aké prínosy lieku Adzynma boli preukázané v štúdiách?

Prínosy lieku Adzynma ako preventívnej liečby epizód TTP sa posudzovali v hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 48 detí a dospelých vo veku do 70 rokov so závažnou cTTP. Štúdia bola rozdelená na tri 6-mesačné obdobia. Počas prvého obdobia sa pacientom podával liek Adzynma alebo ich bežná liečba (často čerstvá mrazená plazma) na prevenciu epizód TTP. V závislosti od predchádzajúceho harmonogramu liečby dostávali liečbu buď raz týždenne, alebo každé dva týždne. Počas druhého obdobia pacienti, ktorí najprv dostali obvyklú liečbu, prešli na liek Adzynma a pacienti, ktorí pôvodne dostávali liek Adzynma, teraz absolvovali zvyčajnú liečbu. Počas tretieho obdobia všetci pacienti používali liek Adzynma.

V skupine pacientov, ktorí dostávali zvyčajnú liečbu počas štúdie, sa vyskytla jedna akútna epizóda TTP a žiadna v skupine používajúcej liek Adzynma. Keďže tento počet bol nízky, nebolo možné dospieť k záveru, či liek Adzynma môže liečiť akútne epizódy TTP. V štúdii sa však preukázalo, že iné príznaky ochorenia, ako je trombocytopénia a prípady mikroangiopatickej hemolytickej anémie, boli pozorované menej často u pacientov, ktorým bol podávaný liek Adzynma, ako u pacientov, ktorým bola podávaná zvyčajná liečba.

Štúdia zahŕňala aj 5 pacientov s cTTP, ktorí dostávali liek Adzynma podľa potreby alebo ich obvyklú liečbu, keď sa u nich vyskytla akútna epizóda TTP. V štúdii bola jedna akútna epizóda TTP úspešne liečená liekom Adzynma a jedna s bežnou liečbou pacienta. Obe akútne epizódy odznali do troch dní od liečby.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Adzynma?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Adzynma a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Adzynma (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú bolesť hlavy, hnačka, závraty, infekcia horných dýchacích ciest (nosa a hrdla), nauzea (pocit nevoľnosti) a migréna.

Prečo bol liek Adzynma povolený v EÚ?

V čase schválenia nebola pre pacientov s cTTP k dispozícii žiadna uspokojivá liečba. Cieľom lieku Adzynma je nahradiť chýbajúci ADAMTS13 podobnou verziou tohto enzýmu vytvoreného v laboratóriu. Hoci údaje zo štúdií neposkytujú dostatočné dôkazy o tom, že liek je účinný pri prevencii akútnych epizód TTP, k dispozícii sú informácie z laboratórnych štúdií, poznatky o tom, ako sa liek správa v tele, a údaje preukazujúce zmiernenie príznakov cTTP u pacientov používajúcich liek Adzynma. Všetky tieto skutočnosti naznačujú, že liečba by mohla byť účinná. Vedľajšie účinky lieku Adzynma sa považovali za prijateľné.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Adzynma sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Adzynma bol povolený za tzv. výnimočných okolností. Dôvodom je, že nebolo možné získať úplné informácie o lieku Adzynma z dôvodu veľmi nízkeho počtu akútnych udalostí TTP u pacientov s cTTP. Spoločnosť musí poskytnúť ďalšie údaje o lieku Adzynma. Musí predložiť úplné výsledky troch štúdií

o bezpečnosti a účinnosti lieku Adzynma. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Adzynma?

Spoločnosť, ktorá liek Adzynma uvádza na trh, poskytne príručku pre zdravotníckych pracovníkov a pohotovostnú kartu pre pacientov vrátane informácií o tom, ako zvládať alergické reakcie na liek Adzynma pri injikovaní lieku doma.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Adzynma boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Adzynma sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Adzynma sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Adzynma

Ďalšie informácie o lieku Adzynma sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.