



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332061/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Pregled zdravila Adzynma in zakaj je odobreno v EU

Adzynma je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje otrok in odraslih s prirojeno trombotično trombocitopenično purpuro (cTTP), dedno boleznijo, ki jo povzročajo mutacije (spremembe) v genu *ADAMTS13*. Bolniki s to boleznijo imajo akutne epizode, pri katerih se tromboze (krvni strdki) tvorijo v majhnih krvnih žilah po vsem telesu. Strdki lahko ovirajo pretok krvi v organe in povzročijo poškodbe. Zaradi povečanega strjevanja krvi pride do pomanjkanja trombocitov v krvi (trombocitopenija), kar poveča tveganje za krvavitve. Pri bolnikih se pojavljajo tudi majhne krvavitve pod kožo, ki so videti kot vijoličaste lise (purpura). Zaradi cTTP telo rdeče krvne celice razgrajuje hitreje kot jih tvori, s čimer se zniža njihova raven (mikroangiopatska hemolitična anemija) s simptomi, kot so utrujenost, oslabeledost in kratkost dihanja.

Prirojena trombotična trombocitopenična purpura je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Adzynma 3. decembra 2008 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Adzynma vsebuje učinkovino *rADAMTS13*.

Kako se zdravilo Adzynma uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti zdravnik z izkušnjami s hematološkimi boleznimi (boleznimi, povezanimi s krvjo).

Zdravilo Adzynma se daje v obliki injekcije v veno. Za preprečevanje epizod TTP se daje enkrat tedensko ali vsaka dva tedna. Za zdravljenje akutnih epizod TTP na zahtevo (ki jih označuje trombocitopenija in mikroangiopatska hemolitska anemija) se daje enkrat na dan; zdravljenje akutnih epizod se mora začeti prvi dan epizode in končati dva dni po koncu epizode.

Bolniki ali njihovi skrbniki lahko po ustreznem usposabljanju zdravilo Adzynma injicirajo sami.

Za več informacij glede uporabe zdravila Adzynma glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Adzynma deluje?

Bolniki s prirojeno trombotično trombocitopenično purpuro imajo v krvi premalo encima (vrste beljakovine), imenovanega *ADAMTS13*. Ta encim razgrajuje velike beljakovine v krvi, imenovane von

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



Willebrandov faktor. Če se te velike beljakovine ne odstranijo, se zlepljajo s trombociti in tvorijo krvne strdke. Učinkovina v zdravilu Adzynma je različica ADAMTS13 (rADAMTS13), ki se proizvaja v laboratoriju. Nadomešča manjkajoči encim ADAMTS13 in razgrajuje von Willebrandov faktor ter tako preprečuje nastajanje krvnih strdkov, odrgnin, krvavitev in anemije.

Kakšne koristi zdravila Adzynma so se pokazale v študijah?

Koristi zdravila Adzynma kot preventivnega zdravljenja epizod TTP so ocenjevali v glavni študiji, v katero je bilo vključenih 48 otrok in odraslih, starih do 70 let, s hudo prirojeno trombotično trombocitopenično purpuro. Študija je bila razdeljena na tri šestmesečna obdobja. V prvem obdobju so bolniki prejeli bodisi zdravilo Adzynma bodisi običajno zdravljenje (pogosto sveže zamrznjeno plazmo) za preprečevanje epizod TTP. Glede na predhodni raspored zdravljenja so zdravljenje prejeli enkrat tedensko ali vsaka dva tedna. V drugem obdobju so bolniki, ki so prvič prejeli običajno zdravljenje, prešli na zdravilo Adzynma, tisti, ki so prvotno prejeli zdravilo Adzynma, pa so zdaj prejeli običajno zdravljenje. V tretjem obdobju so vsi bolniki jemali zdravilo Adzynma.

V skupini bolnikov, ki so med študijo prejeli običajno zdravljenje, se je pojavila ena akutna epizoda TTP, v skupini, ki je prejela zdravilo Adzynma, pa nobena. Ker je bilo to število majhno, ni bilo mogoče ugotoviti, ali se zdravilo Adzynma lahko uporablja za zdravljenje akutnih epizod TTP. Vendar pa je študija pokazala, da so bili pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Adzynma, manj pogosto opaženi drugi simptomi bolezni, kot sta trombocitopenija in pojav mikroangiopatske hemolitične anemije, kot pri bolnikih, ki so prejeli običajno zdravljenje.

Študija je vključevala tudi pet bolnikov s prirojeno trombotično trombocitopenično purpuro, ki so prejeli ali zdravilo Adzynma na zahtevo ali običajno zdravljenje, ko so imeli akutno epizodo prirojene trombotične trombocitopenične purpure. V študiji so eno akutno epizodo prirojene trombotične trombocitopenične purpure uspešno zdravili z zdravilom Adzynma, eno pa z bolnikovim običajnim zdravljenjem. Obe akutni epizodi sta bili rešeni v treh dneh po zdravljenju.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Adzynma?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Adzynma glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Adzynma (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so glavobol, driska, omotica, okužba zgornjih dihal (nosu in grla), navzeja (siljenje na bruhanje) in migrena.

Zakaj je bilo zdravilo Adzynma odobreno v EU?

V času odobritve ni bilo na voljo zadovoljivega zdravljenja za bolnike s cTTP. Namen zdravila Adzynma je nadomestiti manjkajoči ADAMTS13 s podobno različico tega encima, izdelanega v laboratoriju. Čeprav podatki iz študij ne zagotavljajo zadostnih dokazov, da je zdravilo učinkovito pri preprečevanju akutnih epizod TTP, so na voljo informacije iz laboratorijskih študij, znanje o tem, kako se zdravilo obnaša v telesu, in podatki, ki kažejo zmanjšanje simptomov cTTP pri bolnikih, ki jemljejo zdravilo Adzynma. Vse to kaže na to, da bi lahko bilo zdravljenje učinkovito. Neželeni učinki zdravila Adzynma so bili ocenjeni kot sprejemljivi.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Adzynma večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Adzynma je pridobilo dovoljenje za promet v „izjemnih okoliščinah“. Razlog za to je, da ni bilo mogoče pridobiti popolnih informacij o zdravilu Adzynma zaradi zelo majhnega števila akutnih epizod

TTP pri bolnikih s cTTP. Podjetje mora predložiti dodatne podatke o zdravilu Adzynma. Predložiti mora popolne rezultate treh študij o varnosti in učinkovitosti zdravila Adzynma. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Adzynma?

Podjetje, ki trži zdravilo Adzynma, bo zdravstvenim delavcem in bolnikom zagotovilo navodila in opozorilno kartico, vključno z informacijami o načinu obvladovanja alergijskih reakcij na zdravilo Adzynma, kadar se zdravilo injicira doma.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Adzynma upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Adzynma stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Adzynma, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Adzynma

Nadaljnje informacije za zdravilo Adzynma so na voljo na spletni strani agencije:

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