



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332062/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (*rADAMTS13*)

Sammanfattning av Adzynma och varför det är godkänt inom EU

Adzynma är ett läkemedel som används för att behandla barn och vuxna med kongenital trombotisk trombocytopen purpura (cTTP), en ärftlig sjukdom som orsakas av mutationer (förändringar) i ADAMTS13-genen. Patienter med denna sjukdom har akuta episoder där trombos (blodproppar) bildas i små blodkärl i hela kroppen. Blodproppar kan hämma blodflödet till organen och orsaka skador. Den ökade koagulationen leder till brist på blodplättar i blodet (trombocytopeni), vilket ökar risken för blödningar. Patienterna får också små blödningar under huden som gör att purpurfärgade fläckar (purpura) uppträder på huden. cTTP leder även till att kroppen bryter ner röda blodkroppar i en snabbare takt än kroppen kan framställa dem, vilket minskar nivån av röda blodkroppar (mikroangiopatisk hemolytisk anemi), med symtom som trötthet, svaghet och andfåddhet.

cTTP är sällsynt och Adzynma klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 3 december 2008. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Adzynma innehåller den aktiva substansen rADAMTS13.

Hur används Adzynma?

Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska inledas av en läkare med erfarenhet av hematologiska (blodrelaterade) sjukdomar.

Adzynma ges som en injektion i en ven. För att förebygga episoder av trombotisk trombocytopen purpura (TTP) ges det en gång i veckan eller varannan vecka. För behandling efter behov vid akuta TTP-episoder (som kännetecknas av trombocytopeni och mikroangiopatisk hemolytisk anemi) ges Adzynma en gång dagligen. Behandling av akuta episoder ska inledas den dag då episoden först uppträder och avslutas två dagar efter det att den har upphört.

Patienterna eller deras vårdare kan själva injicera Adzynma när de har instruerats i hur man gör.

För mer information om hur du använder Adzynma, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Adzynma?

Patienter med cTTP har för låga nivåer av enzymet ADAMTS13 (en typ av protein) i blodet. Detta enzym bryter ner en typ av stora proteiner i blodet som kallas von Willebrand-faktor. Om inte dessa stora proteiner avlägsnas klumpar de ihop sig med blodplättarna och bildar blodproppar. Den aktiva substansen i Adzynma är en version av ADAMTS13 (rADAMTS13) som tagits fram i laboratorium. Den ersätter det saknade ADAMTS13-enzymet och bryter ner von Willebrand-faktorproteinerna, vilket förebygger blodproppar, blåmärken, blödningar och anemi.

Vilka fördelar med Adzynma har visats i studierna?

Fördelarna med Adzynma som förebyggande behandling vid TTP-episoder bedömdes i en huvudstudie med 48 barn och vuxna med svår cTTP i åldrar upp till 70 år. Studien delades upp i tre perioder på sex månader. Under den första perioden fick patienterna antingen Adzynma eller sin vanliga behandling (som ofta bestod av färskfrost plasma) för att förebygga TTP-episoder. Beroende på deras tidigare behandlingsschema fick de behandlingen antingen en gång i veckan eller varannan vecka. Under den andra perioden bytte de patienter som under den första perioden fått sin vanliga behandling till Adzynma, medan de som fick Adzynma under den första perioden återgick till sin vanliga behandling. Under den tredje perioden behandlades samtliga patienter med Adzynma.

Ett fall av akut TTP registrerades i gruppen av patienter som fick sin vanliga behandling under studien, och inga fall konstaterades i gruppen som stod på Adzynma. Eftersom antalet var lågt var det dock inte möjligt att avgöra om Adzynma är en effektiv behandling vid fall av akut TTP. Studien visade emellertid att andra symtom på sjukdomen, till exempel trombocytopeni och mikroangiopatisk hemolytisk anemi, sågs mindre ofta hos patienter som fick Adzynma än hos patienter som fick sin vanliga behandling.

I studien ingick också fem patienter med cTTP som fick Adzynma eller sin vanliga behandling efter behov vid akut TTP. I studien behandlades en akut TTP-episod framgångsrikt med Adzynma och en annan akut TTP-episod behandlades framgångsrikt med patientens vanliga behandling. Båda dessa akuta episoder hade gått över inom 3 dagars behandling.

Vilka är riskerna med Adzynma?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Adzynma finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Adzynma (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk, diarré, yrsel, övre luftvägsinfektion (infektion i näsa och hals), illamående och migrän.

Varför är Adzynma godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet fanns ingen tillfredsställande behandling tillgänglig för patienter med cTTP. Adzynmas avsedda verkningsmekanism bygger på att ersätta det saknade ADAMTS13 med en liknande version av detta enzym, som framställs i laboratorium. Även om studiedata inte ger tillräckliga belegg för att påvisa att läkemedlet effektivt förebygger akuta TTP-episoder, finns det information från laboratoriestudier, kunskap om hur läkemedlet fungerar i kroppen samt data som visar en minskning av symtomen av cTTP hos patienter som tar Adzynma. Alla dessa uppgifter tyder på att behandlingen kan vara effektiv. Biverkningarna av Adzynma ansågs vara godtagbara.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Adzynma är större än riskerna och att Adzynma kan godkännas för försäljning i EU.

Adzynma har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta beror på att det inte har varit möjligt att få fullständig information om Adzynma på grund av det mycket låga antalet akuta TTP-händelser hos cTTP-patienter. Företaget måste lämna ytterligare uppgifter om Adzynma. Företaget måste lämna in de fullständiga resultaten av tre studier om Adzynmas säkerhet och effekt. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Adzynma?

Företaget som marknadsför Adzynma kommer att tillhandahålla en vägledning för hälso- och sjukvårdspersonal och ett varningskort till patienter, inklusive information om hur man hanterar allergiska reaktioner mot Adzynma när läkemedlet tas i patientens hem.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Adzynma har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Adzynma kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Adzynma utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Adzynma

Mer information om Adzynma finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.