



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/332068/2024
EMA/H/C/006191

Adzynma (rADAMTS13)

Información general sobre Adzynma y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

Adzynma es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de niños y adultos con púrpura trombocitopénica trombótica congénita (PTTc), una enfermedad hereditaria causada por mutaciones (cambios) en el gen *ADAMTS13*. Los pacientes con esta enfermedad presentan episodios agudos en los que se forman trombos (coágulos de sangre) en los vasos sanguíneos pequeños de todo el cuerpo. Los coágulos pueden obstaculizar el flujo sanguíneo a los órganos y causar daños. El aumento de la coagulación provoca una escasez de plaquetas en la sangre (trombocitopenia), lo que aumenta el riesgo de hemorragias. Los pacientes también presentan pequeñas hemorragias debajo de la piel que aparecen como manchas moradas (púrpura). La PTTc también hace que el organismo descomponga los glóbulos rojos con mayor rapidez que aquella con la que el organismo puede producirlos, reduciendo el nivel de glóbulos rojos (anemia hemolítica microangiopática), con síntomas como fatiga, debilidad y dificultad para respirar.

La PTTc es rara y Adzynma fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 3 de diciembre de 2008. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Adzynma contiene el principio activo rADAMTS13.

¿Cómo se usa Adzynma?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo un médico con experiencia en enfermedades hematológicas (relacionadas con la sangre).

Adzynma se administra mediante inyección intravenosa. Para la prevención de episodios de PTT, se administra una vez a la semana o cada dos semanas. Para el tratamiento bajo demanda de los episodios agudos de PTT (caracterizados por trombocitopenia y anemia hemolítica microangiopática), se administra una vez al día; el tratamiento de los episodios agudos debe comenzar el primer día del episodio y finalizar 2 días después de que haya terminado.

Los pacientes o sus cuidadores pueden inyectarse ellos mismos Adzynma una vez que se les haya instruido sobre cómo hacerlo.

Si desea más información sobre el uso de Adzynma, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Adzynma?

Los pacientes con PTTc presentan escasez de una enzima (un tipo de proteína) denominada ADAMTS13 en su sangre. Esta enzima descompone grandes proteínas en la sangre denominadas factor de von Willebrand. Cuando no se eliminan estas proteínas grandes, se acumulan con plaquetas sanguíneas y forman coágulos de sangre. El principio activo de Adzynma es una versión de ADAMTS13 (rADAMTS13) que se produce en un laboratorio. Sustituye a la enzima ADAMTS13 que falta y descompone el factor de von Willebrand, impidiendo así la formación de coágulos de sangre, hematomas, hemorragias y anemia.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Adzynma en los estudios realizados?

Los beneficios de Adzynma como tratamiento preventivo para episodios de PTT se evaluaron en un estudio principal en el que participaron 48 niños y adultos de hasta 70 años con PTTc grave. El estudio se dividió en tres períodos de 6 meses. Durante el primer período, se administró a los pacientes Adzynma o su tratamiento habitual (a menudo plasma fresco congelado) para prevenir los episodios de PTT. Dependiendo del programa de tratamiento previo, recibieron tratamiento una vez a la semana o cada dos semanas. Durante el segundo período, los pacientes a los que se administró por primera vez su tratamiento habitual cambiaron a Adzynma y los que recibieron inicialmente Adzynma recibieron en ese momento su tratamiento habitual. Durante el tercer período, todos los pacientes tomaron Adzynma.

Se produjo un episodio agudo de PTT en el grupo de pacientes a los que se administró el tratamiento habitual durante el estudio y ninguno en el grupo que tomó Adzynma; dado que este número era bajo, no fue posible concluir si Adzynma puede tratar los episodios agudos de PTT. Sin embargo, el estudio demostró que otros síntomas de la enfermedad, como la trombocitopenia y los episodios de anemia hemolítica microangiopática, se observaron con menos frecuencia en los pacientes a los que se administró Adzynma que en los pacientes a los que se administró el tratamiento habitual.

En el estudio también participaron 5 pacientes con PTTc a los que se administró Adzynma bajo demanda o su tratamiento habitual cuando presentaron un episodio agudo de PTT. En el estudio, un episodio de PTT agudo fue tratado con éxito con Adzynma y otro con el tratamiento habitual del paciente. Ambos episodios agudos se resolvieron en los 3 días siguientes al tratamiento.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Adzynma?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Adzynma se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Adzynma (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) incluyen dolor de cabeza, diarrea, mareo, infección de las vías respiratorias superiores (nariz y garganta), infección, náuseas (ganas de vomitar) y migraña.

¿Por qué se ha autorizado Adzynma en la UE?

En el momento de la aprobación, no se disponía de un tratamiento satisfactorio para los pacientes con PTTc. Adzynma pretende sustituir el ADAMTS13 que falta por una versión similar de esta enzima fabricada en el laboratorio. Aunque los datos del estudio no proporcionan pruebas suficientes de que el medicamento sea eficaz para prevenir episodios de PTT agudos, se dispone de información procedente de estudios de laboratorio, conocimientos sobre el comportamiento del medicamento en el organismo y datos que muestran una reducción de los síntomas de PTTc en los pacientes que toman Adzynma. Todos estos datos indican que el tratamiento podría ser eficaz. Los efectos adversos de Adzynma se consideraron aceptables.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Adzynma eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Adzynma se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Adzynma debido al escaso número de episodios agudos de PTT en los pacientes con PTTc. La empresa debe proporcionar datos adicionales sobre Adzynma. Debe presentar los resultados completos de tres estudios sobre la seguridad y la eficacia de Adzynma. La Agencia revisará anualmente la información nueva que esté disponible

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Adzynma?

La compañía que comercializa Adzynma proporcionará una guía a los profesionales sanitarios y una tarjeta de alerta a los pacientes que incluirá información sobre cómo gestionar las reacciones alérgicas a Adzynma cuando el medicamento se inyecte a domicilio.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Adzynma se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Adzynma se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Adzynma se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Adzynma

Puede encontrar información adicional sobre Adzynma en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adzynma.