



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549619/2019
EMA/H/C/002393

Defitelio (*defibrotide*)

Общ преглед на Defitelio и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Defitelio и за какво се използва?

Defitelio се използва за лечение на тежка форма на венооклузивна болест (VOD) при пациенти, подложени на трансплантация на хематопоеични (кръвни) стволови клетки. VOD е заболяване, при което вените на черния дроб са блокирани и спират правилното функциониране на черния дроб. Defitelio се използва при възрастни и деца на възраст над един месец.

Defitelio съдържа активното вещество дефибротид (*defibrotide*).

VOD се счита за рядко заболяване и Defitelio е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 29 юли 2004 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите тук: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Как се използва Defitelio?

Defitelio се отпуска по лекарско предписание и трябва да се предписва и прилага от лекар с опит в лечението на усложнения при трансплантация на кръвни стволови клетки. Прилага се чрез инфузия (вливане) във вена в продължение на 2 часа 4 пъти на ден. Дозата зависи от телесното тегло на пациента. Лечението трябва да продължи най-малко 3 седмици и да се прилага до отзвучаване на симптомите на пациента. За повече информация относно употребата на Defitelio вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Defitelio?

VOD обикновено е усложнение в резултат на лечение, познато като „миелоаблативна химиотерапия“, което се прилага преди трансплантация на кръвни стволови клетки. Миелоаблативната химиотерапия се използва, за да се изчисти костният мозък на пациентите от клетките, преди да получат здрави стволови клетки. Лекарствата, използвани за това лечение, могат да увредят стените на кръвоносните съдове в черния дроб, което води до образуване на тромби и обструкция на съдовете, наблюдавано при VOD.

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



Активното вещество в Defitelio, дефибротид, действа, като усилва разграждането на тромбите в кръвта. Освен това дефибротид може да защити клетките на съдовите стени.

Какви ползи от Defitelio са установени в проучванията?

При тежката форма на VOD е налице висока смъртност от 75 % или повече. В едно основно проучване при 102 пациенти с тежка форма на VOD след трансплантация на кръвни стволови клетки, Defitelio е сравнен с предишни данни за пациенти, които са получавали стандартно поддържащо лечение. Defitelio води до намаляване на смъртността до 62 % на ден 100 след трансплантацията, а при 24 % от пациентите не е имало симптоми на тежка VOD след 100 дни.

Ползи от Defitelio са наблюдавани и в данните от регистъра на пациентите в САЩ (информация за пациенти, събрана по стандартен начин), където пациентите с тежка VOD след трансплантация на кръвни стволови клетки, които получават Defitelio плюс стандартно лечение, са постигнали по-добри резултати от пациентите, на които се прилага само стандартно лечение, включително по-висок процент на преживяемост на ден 100 (39 % спрямо 31 %) и по-висок процент пациенти, при което VOD е излекувана (51 % спрямо 29 %).

Какви са рисковете, свързани с Defitelio?

Най-честите нежелани реакции при Defitelio са хипотония (ниско кръвно налягане) и кървене. За пълния списък на нежеланите реакции при Defitelio вижте листовката.

Defitelio не трябва да се използва заедно с други лекарства, които разграждат кръвни съсиреци. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Defitelio е разрешен за употреба в ЕС?

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Defitelio са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС. Установено е, че Defitelio подобрява преживяемостта при пациенти с тежка VOD. Въпреки че не е било възможно да се проведе проучване, сравняващо директно Defitelio с плацебо (сляпо лечение), фирмата е предоставила достатъчно данни, за да покаже, че пациенти, лекувани с лекарството, са имали по-добри шансове за оцеляване. Наблюдаваните нежелани реакции, напр. кървене, са счетени за управляеми и не е било възможно да се определи със сигурност дали са причинени от Defitelio.

Defitelio е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Defitelio поради рядкото разпространение на заболяването. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Defitelio?

Тъй като Defitelio е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, фирмата, която предлага лекарството, трябва да предостави резултати от текущо проучване за безопасността на лекарството, когато се използва за профилактика на VOD при възрастни и деца, подложени на трансплантация на хематопоеетични стволови клетки. Фирмата също ще анализира данните от резултатите от трансплантацията при пациенти с VOD, които са лекувани с Defitelio и които не са лекувани с Defitelio.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Defitelio?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Defitelio, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Defitelio непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Defitelio, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Defitelio:

Defitelio получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 18 октомври 2013 г.

Допълнителна информация за Defitelio можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Дата на последно актуализиране на текста 10-2019.