



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotidum*)

Přehled pro přípravek Defitelio a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Defitelio a k čemu se používá?

Defitelio je léčivý přípravek, který se používá k léčbě závažného venookluzivního onemocnění u pacientů podstupujících transplantaci hematopoetických (krvetvorných) kmenových buněk. Venookluzivní onemocnění je stav, kdy dochází k uzávěru žil v játrech, což vede k poruše funkce jater. Přípravek Defitelio se používá u dospělých a dětí od jednoho měsíce věku.

Přípravek Defitelio obsahuje léčivou látku defibrotid.

Venookluzivní onemocnění je vzácné onemocnění a přípravek Defitelio byl označen dne 29. července 2004 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Jak se přípravek Defitelio používá?

Výdej přípravku Defitelio je vázán na lékařský předpis. Léčbu musí předepsat a podávat lékař, který má zkušenosti s léčbou komplikací při transplantaci krvetvorných kmenových buněk. Přípravek se podává infuzí (kapáním) do žíly po dobu dvou hodin čtyřikrát denně. Dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta. Léčba by měla trvat alespoň 3 týdny a měla by pokračovat, dokud příznaky u pacienta nevymizí. Více informací o používání přípravku Defitelio naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Defitelio působí?

Venookluzivní onemocnění je obvykle komplikací léčby známé jako „myeloablativní chemoterapie“, která se podává před transplantací krvetvorných kmenových buněk. Myeloablativní chemoterapie se používá k očištění pacientovy kostní dřeně od buněk před podáním zdravých kmenových buněk. Léčivé přípravky používané k této léčbě mohou poškodit výstelku krevních cév v játrech, což vede k tvorbě sraženin a uzavření krevních cév, což jsou stavy pozorované u venookluzivního onemocnění.

Léčivá látka v přípravku Defitelio, defibrotid, působí tak, že zvyšuje rozpouštění sraženin v krvi. Navíc defibrotid chrání buňky, které vystylají krevní cévy.

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



Jaké přínosy přípravku Defitelio byly prokázány v průběhu studií?

Závažné venookluzivní onemocnění se vyznačuje 75% a vyšší úmrtností. V jedné hlavní studii zahrnující 102 pacientů se závažným venookluzivním onemocněním po transplantaci krvetvorných kmenových buněk byl přípravek Defitelio porovnáván s předchozími záznamy u pacientů, kteří dostávali standardní podpůrnou léčbu. Přípravek Defitelio snížil úmrtnost za 100 dnů od transplantace na 62 %, přičemž 24 % pacientů nevykazovalo po 100 dnech žádné příznaky závažného venookluzivního onemocnění.

Přínosy přípravku Defitelio byly pozorovány také na úrovni údajů z registru pacientů ve Spojených státech (shromažďujícího údaje o pacientech standardizovaným způsobem), v rámci kterého pacienti se závažným venookluzivním onemocněním po transplantaci krvetvorných kmenových buněk, kteří užívali přípravek Defitelio a dostávali standardní péči, vykazovali lepší výsledky než pacienti, kteří dostávali pouze standardní péči, včetně vyšší míry přežití po 100 dnech (39 % oproti 31 %) a vyššího podílu pacientů, u kterých venookluzivní onemocnění vymizelo (51 % oproti 29 %).

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Defitelio?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Defitelio jsou hypotenze (nízký krevní tlak) a krvácení. Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Defitelio je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Defitelio se nesmí užívat společně s dalšími léčivými přípravky, které rozpouštějí krevní sraženiny. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Defitelio registrován v EU?

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Defitelio převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU. Bylo prokázáno, že přípravek Defitelio prodlužuje dobu přežití u pacientů se závažným venookluzivním onemocněním. Ačkoli nebylo možné provést studii, která by přímo porovnávala přípravek Defitelio s placebem (neúčinným přípravkem), společnost předložila dostatečné údaje k prokázání toho, že pacienti léčení tímto léčivým přípravkem mají vyšší šanci na přežití. Pozorované nežádoucí účinky, např. krvácení, byly považovány za zvladatelné a nebylo možné s jistotou určit, zda byly způsobeny přípravkem Defitelio.

Přípravek Defitelio byl registrován za „výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Defitelio získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Defitelio nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Defitelio byl registrován za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Defitelio dodává na trh, je povinna předložit výsledky z probíhající studie jeho bezpečnosti při použití k prevenci venookluzivního onemocnění u dospělých a dětí podstupujících transplantaci krvetvorných kmenových buněk. Společnost dále provede analýzu údajů z výsledků transplantace u pacientů s venookluzivním onemocněním, kteří byli, nebo naopak nebyli léčení přípravkem Defitelio.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Defitelio?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Defitelio, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Defitelio průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Defitelio jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Defitelio

Přípravku Defitelio bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 18. října 2013.

Další informace o přípravku Defitelio jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 10-2019.