



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/117238/2023
EMA/H/C/004751

Trecondi (*treosulfan*)

Přehled pro přípravek Trecondi a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Trecondi a k čemu se používá?

Přípravek Trecondi je léčivý přípravek, který se podává pacientům před tím, než podstoupí transplantaci kostní dřeně kostní dření od dárce známou jako „transplantace alogenních hematopoetických kmenových buněk“. Používá se jako „přípravná“ léčba k očištění pacientovy kostní dřeně a vytvoření prostoru pro transplantované buňky kostní dřeně, které následně mohou produkovat zdravé krevní buňky.

Přípravek Trecondi se používá v kombinaci s léčivem zvaným fludarabin u dospělých a dětí ve věku od 1 měsíce s nádorovými onemocněními krve nebo s jinými závažnými onemocněními, která vyžadují transplantaci kostní dřeně.

Léčivou látkou v přípravku Trecondi je treosulfan.

Transplantace hematopoetických kmenových buněk je vzácná a přípravek Trecondi byl označen dne 23. února 2004 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu304186.

Jak se přípravek Trecondi používá?

Přípravek Trecondi se podává ve formě infuze (kapání) do žíly po dobu dvou hodin. Přípravek Trecondi se pacientovi podává jednou denně po dobu tří dnů před transplantací. Fludarabin se podává jednou denně po dobu pěti dnů před transplantací.

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Podávání přípravku Trecondi se musí provádět pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s přípravnou léčbou před transplantací alogenních hematopoetických kmenových buněk.

Více informací o používání přípravku Trecondi naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jak přípravek Trecondi působí?

Léčivá látka v přípravku Trecondi, treosulfan, patří do skupiny léčivých přípravků zvaných alkylační látky. V těle se treosulfan přeměňuje na jiné sloučeniny zvané epoxidy, které usmrcují buňky, zejména buňky, které se rychle vyvíjejí, což jsou například buňky kostní dřeně. Když se buňky dělí, epoxidy se naváží na jejich DNA. Přípravek Trecondi takto může usmrcovat buňky v kostní dřeni pacienta a vytvářet prostor pro nové buňky od dárce.

Jaké přínosy přípravku Trecondi byly prokázány v průběhu studií?

Tři hlavní studie prokázaly, že přípravek Trecondi je přinejmenším stejně účinný jako busulfan, což je jiné léčivo používané k přípravě pacientů na transplantaci hematopoetických kmenových buněk.

V jedné ze studií, do které bylo zařazeno 570 dospělých s akutní myeloidní leukémií (nádorovým onemocněním krve) nebo myelodysplastickými syndromy (onemocněními, při kterých se tvoří velké množství abnormálních krvinek a z nichž se může rozvinout leukémie), 64 % pacientů, kterým byl podáván přípravek Trecondi (v kombinaci s fludarabinem), úspěšně podstoupilo transplantaci a po dvou letech byli naživu a bez onemocnění, zatímco u pacientů, kterým byl podáván busulfan (v kombinaci s fludarabinem), to bylo 51 % pacientů.

V další studii, do které bylo zařazeno 70 dětí s nádorovými onemocněními krve, bylo z dětí, kterým byl podáván přípravek Trecondi (v kombinaci s fludarabinem), naživu tři měsíce po transplantaci 99 % dětí, po jednom roce 91 % dětí a po třech letech 84 % dětí.

V dodatečné studii, do které bylo zařazeno 101 dětí s jinými závažnými onemocněními vyžadujícími transplantaci kostní dřeně, nezemřelo v průběhu tří měsíců po zákroku žádné z 51 dětí, kterým byl podáván přípravek Trecondi, zatímco u dětí, kterým byl podáván busulfan (v kombinaci s fludarabinem), zemřelo 5 z 50 dětí. Rok po transplantaci bylo naživu 96 % dětí, kterým byl podáván přípravek Trecondi, a 88 % dětí, kterým byl podáván busulfan.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Trecondi?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Trecondi u dospělých a dětí (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou infekce, nauzea (pocit na zvracení), stomatitida (zánět sliznice úst), zvracení a průjem. U více než 1 dospělého z 10 byla rovněž pozorována únava, febrilní neutropenie (nízký počet bílých krvinek s horečkou) a vysoká hladina bilirubinu v krvi (produktu rozpadu červených krvinek). Více než 1 dítě z 10 může postihnout jaterní toxicita a zvýšená hladina některých jaterních enzymů v krvi, bolest břicha, svědění a horečka.

U dospělých jsou častými nežádoucími účinky (které mohou postihnout více než 1 osobu ze 100) bolest břicha, snížená chuť k jídlu, vyrážka, svědění, ztráta vlasů, horečka, edém (otok způsobený zadržováním tekutin) a zvýšená hladina některých jaterních enzymů v krvi. U dětí jsou častými nežádoucími účinky (které mohou postihnout více než 1 osobu ze 100) únava, febrilní neutropenie, vyrážka, ztráta vlasů a vysoká hladina bilirubinu v krvi.

Přípravek Trecondi se nesmí používat u pacientů s aktivní nekontrolovanou infekcí, s těžkým onemocněním srdce, plic, jater nebo ledvin ani u pacientů s Fanconiho anémií a jinými poruchami oprav DNA. Přípravek Trecondi nesmí být podáván těhotným ženám a pacientům léčeným přípravkem Trecondi se nesmí podávat živé vakcíny.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Trecondi registrován v EU?

Přípravek Trecondi je účinný při přípravě dospělých a dětí na transplantaci hematopoetických kmenových buněk.

Nežádoucí účinky přípravku Trecondi jsou zvladatelné a srovnatelné s nežádoucími účinky busulfanu. Stejně jako busulfan se přípravek Trecondi považuje za přípravnou léčbu „s nižší intenzitou“: to znamená, že je méně toxický než standardní přípravné léčby, které jsou založeny na chemoterapii s ozařováním nebo bez ozařování.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Trecondi převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

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

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

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

Další informace o přípravku Trecondi

Přípravku Trecondi bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 20. června 2019.

Další informace o přípravku Trecondi jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/trecondi.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 02–2023.