



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotid*)

Oversigt over Defitelio, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Defitelio, og hvad anvendes det til?

Defitelio er et lægemiddel, der anvendes til behandling af svære tilfælde af såkaldt veneokklusiv sygdom (VOD) hos patienter, der gennemgår hæmatopoietisk (blod-)stamcelletransplantation. Ved veneokklusiv sygdom blokeres blodårerne i leveren, og det giver nedsat leverfunktion. Defitelio anvendes hos voksne og børn i alderen én måned og opefter.

Defitelio indeholder det aktive stof defibrotid.

Veneokklusiv sygdom er sjælden, og Defitelio blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 29. juli 2004. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Hvordan anvendes Defitelio?

Defitelio fås kun på recept, og behandlingen må kun ordineres og gives af en læge med erfaring i håndtering af komplikationer ved blodstamcelletransplantation. Det gives ved infusion (drop) i en blodåre i løbet af 2 timer 4 gange om dagen. Den anbefalede dosis afhænger af patientens vægt. Behandlingen bør vare i mindst tre uger og fortsættes, indtil patienten ikke længere har symptomer. Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Defitelio, se indlægssedlen, eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Defitelio?

Veneokklusiv sygdom er en typisk komplikation ved såkaldt myeloablative kemoterapi, der gives til patienter inden blodstamcelletransplantation. Myeloablative kemoterapi anvendes til at rense patientens knoglemarv for celler, før han/hun modtager sunde stamceller. De lægemidler, der anvendes til denne behandling, kan beskadige det inderste lag af karvæggen i leverens blodårer, så der kan opstå blodpropper og dermed blokering af blodstrømmen i leveren (veneokklusiv sygdom).

Det aktive stof i Defitelio, defibrotid, virker ved at øge opløsningen af blodpropper. Defibrotid kan desuden beskytte cellerne i det inderste lag af karvæggen.

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



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Defitelio?

Svær veneokklusiv sygdom er forbundet med høj dødelighed på 75 % eller derover. I ét hovedstudie med 102 patienter, der havde svær veneokklusiv sygdom efter blodstamcelletransplantation, blev Defitelio sammenlignet med en historisk kontrolgruppe af patienter, der havde fået understøttende standardbehandling. Defitelio havde sænket dødeligheden til 62 % 100 dage efter transplantationen, og 24 % af patienterne havde ingen symptomer på svær veneokklusiv sygdom efter 100 dage.

I henhold til data fra et patientregister (information om patienter indsamlet på en standardiseret måde) i USA har Defitelio også udvist gavnlige effekter hos patienter, der havde svær veneokklusiv sygdom efter blodstamcelletransplantation, og som fik Defitelio plus standardbehandling, idet disse patienter opnåede bedre resultater end patienter, der kun fik standardbehandling, herunder en højere overlevelsesrate efter 100 dage (39 % mod 31 %) og en større andel af veneokklusionstilfælde, der fortog sig (51 % mod 29 %).

Hvilke risici er der forbundet med Defitelio?

De hyppigste bivirkninger ved Defitelio er for lavt blodtryk og blødning. Den fuldstændige liste over bivirkningerne ved Defitelio fremgår af indlægssedlen.

Defitelio må ikke anvendes sammen med andre lægemidler, der opløser blodpropper. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Defitelio godkendt i EU?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Defitelio opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU. Defitelio har vist sig at forbedre overlevelsen hos patienter med svær veneokklusiv sygdom. Selvom det ikke har været muligt at gennemføre et studie, hvor Defitelio sammenlignes direkte med placebo (ikke-aktivt stof), har virksomheden fremlagt tilstrækkelige data til påvisning af, at patienter, der behandles med lægemidlet, har større chance for at overleve. De bivirkninger, der opstod, f.eks. blødning, vurderedes til at være håndterbare, og det kunne ikke fastslås med sikkerhed, om de skyldtes Defitelio.

Defitelio er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Defitelio. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Defitelio?

Da Defitelio er godkendt under "særlige omstændigheder", skal den virksomhed, der markedsfører lægemidlet, fremlægge resultaterne af et igangværende studie af sikkerheden ved lægemidlet, når det bruges til forebyggelse af VOD hos voksne og børn, der får en blodstamcelletransplantation.

Virksomheden skal også analysere data for resultaterne af transplantationer hos voksne med VOD (både dem, som er blevet behandlet med Defitelio, og dem, som ikke er).

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Defitelio?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Defitelio.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brug af Defitelio løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Defitelio vurderes omhyggeligt, og der foretages nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Defitelio

Defitelio fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 18. oktober 2013.

Yderligere information om Defitelio findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Denne oversigt blev sidst ajourført i 10-2019.