



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/117239/2023
EMA/H/C/004751

Trecondi (*treosulfan*)

En oversigt over Trecondi, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Trecondi, og hvad anvendes det til?

Trecondi er et lægemiddel, der gives til patienter, inden de får en transplantation med knoglemarv fra en donor ("allogen hæmatopoietisk stamcelletransplantation"). Det anvendes som en "konditioneringsbehandling" for at rense patientens knoglemarv for celler og gøre plads til de transplanterede knoglemarvsceller, som så kan producere sunde blodceller.

Trecondi anvendes sammen med et lægemiddel kaldet fludarabin til voksne og børn fra 1-månedsalderen med blodkræft eller andre alvorlige sygdomme, der kræver en knoglemarvstransplantation.

Det aktive stof i Trecondi er treosulfan.

Hæmatopoietisk stamcelletransplantation er sjælden, og Trecondi blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 23. februar 2004. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu304186.

Hvordan anvendes Trecondi?

Trecondi gives som en 2 timer lang infusion (drop) i en vene. Patienten modtager Trecondi én gang dagligt i 3 dage inden transplantationen. Fludarabin gives en gang dagligt i 5 dage forud for transplantationen.

Lægemidlet fås kun på recept, og anvendelsen af Trecondi skal overvåges af en læge, der har erfaring med konditioneringsbehandling forud for allogen hæmatopoietisk stamcelletransplantation.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Trecondi, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Trecondi?

Det aktive stof i Trecondi, treosulfan, er et kræftmiddel, der tilhører en gruppe af lægemidler, som kaldes alkyliserende midler. I kroppen omdannes treosulfan til andre stoffer, der kaldes epoxider, og

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.

som dræber celler, navnlig dem, der udvikler sig hurtigt, f.eks. knoglemarvsceller. Epoxider virker ved at binde sig til cellernes DNA, mens de deler sig. Derved kan Trecondi dræbe celler i patientens knoglemarv og gøre plads til de nye celler fra en donor.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Trecondi?

Tre hovedstudier viste, at Trecondi er mindst lige så effektivt som busulfan, en anden type lægemiddel, der anvendes til patienter som forberedende behandling inden hæmatopoietisk stamcelletransplantation.

I et af studierne, der omfattede 570 voksne med akut myeloid leukæmi (blodkræft) eller myelodysplastisk syndrom (tilstand, hvor der produceres et stort antal unormale blodlegemer), var transplantationen vellykket hos 64 % af de patienter, der fik Trecondi (med fludarabin), og de var i live og sygdomsfri efter 2 år sammenlignet med 51 % af de patienter, der fik busulfan (med fludarabin).

I et andet studie, der omfattede 70 børn med blodkræft, var 99 % af de børn, der fik Trecondi (med fludarabin), i live 3 måneder efter transplantationen; 91 % af børnene var i live efter et år og 84 % efter tre år.

I et yderligere studie med 101 børn med andre alvorlige lidelser, der krævede knoglemarvstransplantation, var ingen af de 51 børn, der fik Trecondi, døde af årsager relateret til transplantationen 3 måneder efter forsøget, sammenlignet med 5 ud af 50 børn, der fik busulfan (med fludarabin). Et år efter transplantationen var 96 % af de børn, der fik Trecondi, og 88 % af dem, der fik busulfan, i live.

Hvilke risici er der forbundet med Trecondi?

De hyppigste bivirkninger hos voksne og børn med Trecondi (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er infektioner, kvalme, stomatitis (betændelse i mundslimhinden), opkastning og diarré. Træthed, febril neutropeni (lavt antal hvide blodlegemer med feber) og højt indhold i blodet af bilirubin (et nedbrydningsprodukt af røde blodlegemer) ses også hos mere end 1 ud af 10 voksne. Levertoksicitet, forhøjet indhold i blodet af visse leverenzymmer, mavesmerter, kløe og feber kan også forekomme hos mere end 1 ud af 10 børn.

Almindelige bivirkninger hos voksne (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 100 personer) er mavesmerter, nedsat appetit, udslæt, kløe, hårtab, feber, ødem (hævelse på grund af væskeophobning) og forhøjet indhold af visse leverenzymmer i blodet. Almindelige bivirkninger hos børn (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 100 personer) er træthed, febril neutropeni (lavt antal hvide blodlegemer med feber), udslæt, hårtab og høje niveauer af bilirubin i blodet.

Trecondi må ikke anvendes hos patienter med en aktiv, ukontrolleret infektion, med svære hjerte-, lunge-, lever- eller nyreproblemer, eller hos patienter med Fanconi-anæmi og andre sygdomme, der begrænser kroppens evne til at reparere DNA. Gravide kvinder må ikke bruge Trecondi, og patienter, der får Trecondi, må ikke vaccineres med levende vaccine.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Trecondi godkendt i EU?

Trecondi er effektivt med hensyn til at forberede voksne og børn til hæmatopoietisk stamcelletransplantation.

Bivirkningerne ved Trecondi er håndterbare og sammenlignelige med dem, der ses ved busulfan. I lighed med busulfan betragtes Trecondi som en konditioneringsbehandling med "reduceret intensitet".

Det betyder, at den er mindre toksisk end almindelige konditioneringsbehandlinger, som er baseret på kemoterapi med eller uden stråling.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Trecondi opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

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

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

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

Andre oplysninger om Trecondi

Trecondi fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 20. juni 2019.

Yderligere information om Trecondi findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/trecondi.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 02-2023.