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

Defitelio (*δεφιβρωτίδη*)

Ανασκόπηση του Defitelio και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Defitelio και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Defitelio χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της σοβαρής φλεβοαποφρακτικής ηπατοπάθειας (VOD) σε ασθενείς που υποβάλλονται σε μεταμόσχευση αιμοποιητικών αρχέγονων κυττάρων. Η φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια είναι μια πάθηση στην οποία οι ηπατικές φλέβες αποφράσσονται με αποτέλεσμα τη διακοπή της σωστής λειτουργίας του ήπατος. Το Defitelio χορηγείται σε ενήλικες και παιδιά από την ηλικία του ενός μήνα.

Το Defitelio περιέχει τη δραστική ουσία δεφιβρωτίδη.

Η φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια είναι «σπάνια» νόσος και το Defitelio χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 29 Ιουλίου 2004. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Πώς χρησιμοποιείται το Defitelio;

Το Defitelio χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και πρέπει να συνταγογραφείται και να χορηγείται στους ασθενείς από ιατρούς ειδικευμένους στη διαχείριση επιπλοκών της μεταμόσχευσης αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων. Χορηγείται 4 φορές την ημέρα με έγχυση (ενστάλαξη) σε φλέβα διάρκειας 2 ωρών. Η δόση εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς. Η θεραπεία πρέπει να διαρκεί τουλάχιστον 3 εβδομάδες και να μην διακόπτεται έως ότου ο ασθενής δεν εμφανίζει πλέον συμπτώματα. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Defitelio, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Defitelio;

Η φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια εμφανίζεται συνήθως ως επιπλοκή μιας θεραπείας γνωστής ως «μυελοαφανιστικής χημειοθεραπείας», η οποία χορηγείται πριν από μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων. Η μυελοαφανιστική χημειοθεραπεία χρησιμοποιείται για την αφαίρεση των κυττάρων από τον μυελό των οστών του ασθενούς προτού αυτός λάβει τα υγιή αρχέγονα κύτταρα. Τα

© European Medicines Agency, 2019. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

φάρμακα που χρησιμοποιούνται για τη θεραπεία αυτή μπορούν να καταστρέψουν τα εσωτερικά τοιχώματα των αιμοφόρων αγγείων του ήπατος, με αποτέλεσμα τον σχηματισμό θρόμβων και την απόφραξη των αγγείων, όπως συμβαίνει στη φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια.

Η δραστική ουσία του Defitelio, η δεφιβρωτίδη, δρα ενισχύοντας τη διάσπαση των θρόμβων στο αίμα. Επιπλέον, η δεφιβρωτίδη μπορεί να προστατεύει τα κύτταρα του εσωτερικού τοιχώματος των αιμοφόρων αγγείων.

Ποια είναι τα οφέλη του Defitelio σύμφωνα με τις μελέτες;

Η σοβαρή φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια έχει υψηλό ποσοστό θνησιμότητας της τάξεως του 75 % ή υψηλότερο. Σε μία βασική μελέτη στην οποία μετείχαν 102 ασθενείς με σοβαρή φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια κατόπιν μεταμόσχευσης αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων, το Defitelio συγκρίθηκε με το ιατρικό ιστορικό ασθενών οι οποίοι είχαν λάβει τη συνήθη υποστηρικτική φροντίδα. Διαπιστώθηκε ότι 100 ημέρες μετά τη μεταμόσχευση το Defitelio μείωσε το ποσοστό θνησιμότητας στο 62 %, το δε 24% των ασθενών δεν εμφάνιζε καθόλου συμπτώματα σοβαρής φλεβοαποφρακτικής ηπατοπάθειας μετά από 100 ημέρες.

Τα οφέλη του Defitelio προκύπτουν και από τα δεδομένα ενός μητρώου ασθενών στις ΗΠΑ (πληροφορίες για τους ασθενείς που συλλέγονται με τυποποιημένο τρόπο), σύμφωνα με τα οποία οι ασθενείς με σοβαρή φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια μετά από μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων οι οποίοι έλαβαν Defitelio και τη συνήθη περίθαλψη είχαν, σε σύγκριση με τους ασθενείς που έλαβαν μόνο τη συνήθη περίθαλψη, καλύτερα αποτελέσματα, στα οποία περιλαμβάνεται υψηλότερο ποσοστό επιβίωσης στις 100 ημέρες (39% έναντι 31%) και υψηλότερο ποσοστό υποχώρησης των συμπτωμάτων της φλεβοαποφρακτικής ηπατοπάθειας (51% έναντι 29%).

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Defitelio;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Defitelio είναι υπόταση (χαμηλή αρτηριακή πίεση) και αιμορραγία. Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Defitelio, συμβουλευτείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Defitelio δεν πρέπει να χορηγείται σε συνδυασμό με άλλα αντιπηκτικά φάρμακα. Για τον πλήρη κατάλογο των περιορισμών, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Defitelio στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Defitelio υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ. Αποδείχθηκε ότι το Defitelio βελτιώνει την επιβίωση ασθενών που πάσχουν από σοβαρή φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια. Αν και δεν κατέστη εφικτή η διενέργεια μελέτης για την απευθείας σύγκριση του Defitelio με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία), η παρασκευάστρια εταιρεία παρέσχε δεδομένα που τεκμηριώνουν επαρκώς ότι το φάρμακο αύξησε τις πιθανότητες επιβίωσης των ασθενών που το έλαβαν. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που διαπιστώθηκαν, όπως η αιμορραγία, κρίθηκαν αντιμετωπίσιμες, ενώ δεν ήταν δυνατόν να εξακριβωθεί με βεβαιότητα ότι προκλήθηκαν από το Defitelio.

Το Defitelio εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», καθώς λόγω της σπανιότητας της ασθένειας δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Defitelio. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Defitelio αναμένεται να υποβληθούν;

Δεδομένου ότι το Defitelio εγκρίθηκε με τη διαδικασία των εξαιρετικών περιστάσεων, η παρασκευάστρια εταιρεία του φαρμάκου καλείται να υποβάλει τα αποτελέσματα μιας εν εξελίξει μελέτης για την ασφάλεια του φαρμάκου όταν αυτό χρησιμοποιείται για την πρόληψη της φλεβοαποφρακτικής ηπατοπάθειας σε ενήλικες και παιδιά που υποβάλλονται σε μεταμόσχευση αιμοποιητικών αρχέγονων κυττάρων. Επίσης, η εταιρεία θα αναλύσει τα αποτελέσματα της μεταμόσχευσης σε ασθενείς με φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια οι οποίοι έχουν υποβληθεί σε θεραπεία με Defitelio και σε ασθενείς με φλεβοαποφρακτική ηπατοπάθεια οι οποίοι δεν έχουν υποβληθεί στην εν λόγω θεραπεία.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Defitelio;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του φαρμάκου συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Defitelio.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Defitelio τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται με το Defitelio αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Defitelio

Στις 18 Οκτωβρίου 2013, το Defitelio έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση.

Περισσότερες πληροφορίες για το Defitelio διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 10-2019.