



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/626874/2019
EMA/H/C/005156

Deferasirox Accord (*deferazirox*)

A Deferasirox Accord-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Deferasirox Accord és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Deferasirox Accord-ot krónikus vastűlterhelés (tűlzott mertykű vas jelenléte a szervezetben) kezelésére alkalmazzák a következő betegcsoportoknál:

- 6 éves kortól, béta-talasszémia majorban (örökletes vérbetegség, amikor a vér nem tartalmaz elegendő normál hemoglobint, azaz a szervezetben oxigént szállító fehérjét) szenvedő betegeknél, akik gyakran részesűlnek vérátömlesztésben.
- 2 és 5 év közötti, béta-talasszémia majorban szenvedő gyermekeknél, akik gyakran részesűlnek vérátömlesztésben, és akiknél a deferoxamin (a vastűlterhelés kezelésére alkalmazott másik gyógyszer) nem alkalmazható vagy nem megfelelő.
- 2 éves kortól, béta-talasszémia majorban szenvedő betegeknél, akik ritkán részesűlnek vérátömlesztésben, és akiknél a deferoxamin nem alkalmazható vagy nem megfelelő.
- 2 éves kortól, más típusú vérszegénységben (alacsony hemoglobinszint a vérben) szenvedő és vérátömlesztésben részesűlő betegeknél, akiknél a deferoxamin nem alkalmazható vagy nem megfelelő.
- 10 éves kortól, vérátömlesztéstől nem függő talasszémia szindrómákban szenvedő betegeknél, akiknél a deferoxamin nem alkalmazható vagy nem megfelelő. A vérátömlesztéstől nem függő talasszémia szindrómák a béta-talasszémia majorhoz hasonló vérrendellenességek, amelyek kezelése azonban nem igényel vérátömlesztést. Ezeknél a betegeknél a vastűlterhelést a vas bélből történő tűlzott felszívódása okozza.

A Deferasirox Accord egy deferazirox nevű hatóanyagot tartalmazó „generikus gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy a Deferasirox Accord ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza és ugyanolyan módon hat mint egy, az EU-ban már engedélyezett, Exjade nevű „referencia-gyógyszer”. A generikus gyógyszerekkel kapcsolatban további információ [ebben](#) a kérdés-válasz dokumentumban található.

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



Hogyan kell alkalmazni a Deferasirox Accord-ot?

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a krónikus vastúlterhelés kezelésében tapasztalt orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A Deferasirox Accord filmtabletta (90 mg, 180 mg és 360 mg) formájában kapható, amelyet naponta egyszer, minden nap nagyjából ugyanabban az időpontban kell bevenni.

A Deferasirox Accord kezdő adagja a beteg testsúlyától, a kezelendő betegségtől és a vastúlterhelés mértékétől függ. Az adag a későbbiekben, szükség szerint 3–6 havonta a vér vasszintjének megfelelően módosítható.

A Deferasirox Accord alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását a Deferasirox Accord?

Ha a szervezet nem képes megfelelően eltávolítani a vasat, a vastöbblet károsodást okozhat. A Deferasirox Accord hatóanyaga, a deferasirox egy „vaskelátor”. A szervezetben a vastöbblet köthető egy „kelát” elnevezésű vegyületet képez, amely – főként a széklettel – képes kiürülni a szervezetből. Ez segít megszüntetni a vastúlterhelést és megelőzni a szervek, például a szív vagy a máj vastöbblet miatti károsodását.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Deferasirox Accord-ot?

A hatóanyag előnyeire és kockázataira irányuló vizsgálatokat a jóváhagyott alkalmazásokban már elvégezték a referencia-gyógyszerrel, az Exjade-val, így ezeket a Deferasirox Accord esetében nem szükséges megismételni.

Mint minden gyógyszer esetében, a vállalat a Deferasirox Accord minőségére vonatkozó vizsgálatokat nyújtott be. A vállalat elvégzett egy további vizsgálatot is, amely igazolta a referencia-gyógyszerrel való biológiai egyenértékűséget. Két gyógyszer akkor biológiailag egyenértékű, ha ugyanolyan hatóanyagszintet eredményeznek a szervezetben, így hatásuk várhatóan egyezik.

Milyen előnyökkel és kockázatokkal jár a Deferasirox Accord alkalmazása?

Mivel a Deferasirox Accord generikus gyógyszer és biológiailag egyenértékű a referencia-gyógyszerrel, előnyei és kockázatai azonosnak tekinthetők a referencia-gyógyszer előnyeivel és kockázataival.

Miért engedélyezték a Deferasirox Accord forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az EU követelményeinek megfelelően a Deferasirox Accord minőségi szempontból összehasonlíthatónak és biológiailag egyenértékűnek bizonyult az Exjade-val. Ezért az Ügynökségnek az volt a véleménye, hogy az Exjade-hoz hasonlóan a Deferasirox Accord előnyei meghaladják annak azonosított kockázatait, és a Deferasirox Accord alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Deferasirox Accord biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Deferasirox Accord-ot forgalmazó vállalatnak egészségügyi szakembereknek szóló oktatócsomagot kell kiadnia. A csomag tájékoztatást tartalmaz számukra a Deferasirox Accord terápiás ajánlásairól, beleértve a megfelelő adag kiválasztását és a beteg egészségi állapota, különösen a vesefunkció

figyelemmel kísérésének szükségességét is. A vállalat a betegek számára is hasonló csomagot fog összeállítani.

A Deferasirox Accord biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Deferasirox Accord alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Deferasirox Accord alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Deferasirox Accord-dal kapcsolatos egyéb információ

A Deferasirox Accord-dal kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/deferasirox-accord. A referencia-gyógyszerre vonatkozó információ szintén megtalálható az Ügynökség weboldalán.