



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549587/2018  
EMA/H/C/000670

## Exjade (*deferasiroxum*)

Přehled pro přípravek Exjade a proč byl přípravek registrován v EU

Co je **přípravek** Exjade a k **čemu** se používá?

Exjade je léčivý přípravek, který se používá k léčbě chronického přetížení organismu železem (přebytku železa v těle) u těchto skupin pacientů:

- pacienti ve věku od 6 let s beta-talasemií major (vrozenou poruchou krve, při které krev pacientů neobsahuje dostatek běžného hemoglobinu), kteří často podstupují krevní transfuze,
- děti ve věku od 2 do 5 let s beta-talasemií major, které často podstupují krevní transfuze, pokud nelze použít deferoxamin (jiný léčivý přípravek k léčbě přetížení organismu železem) nebo léčba tímto léčivým přípravkem nedostačuje,
- pacienti ve věku od 2 let s beta-talasemií major, kteří podstupují nepříliš časté krevní transfuze, pokud nelze použít deferoxamin nebo léčba tímto léčivým přípravkem nedostačuje,
- pacienti ve věku od 2 let s jinými typy anémie (nízkými hladinami hemoglobinu v krvi), kteří podstupují krevní transfuze, pokud nelze použít deferoxamin nebo léčba tímto léčivým přípravkem nedostačuje,
- pacienti ve věku od 10 let se syndromy talasemie nezávislými na podávání krevních transfuzí, pokud nelze použít deferoxamin nebo léčba tímto léčivým přípravkem nedostačuje. Syndromy talasemie nezávislé na podávání krevních transfuzí jsou poruchy krve podobné beta-talasemii major, nevyžadují však krevní transfuze. U těchto pacientů je přetížení organismu železem způsobeno nadměrným vstřebáváním železa ze střev.

Přípravek Exjade obsahuje léčivou látku deferasirox.

Jak se **přípravek** Exjade používá?

Výdej přípravku Exjade je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou chronického přetížení organismu železem.

Přípravek Exjade je dostupný ve formě potahovaných tablet, dispergovatelných tablet a granulí. Potahované tablety se polykají a zapíjejí vodou, zatímco dispergovatelné tablety je třeba smíchat s tekutinou, čímž se vytvoří suspenze, kterou pacient může vypít. Granule se nasypou na měkké potraviny, jako je jogurt nebo jablečné pyré, které pacient může jíst.



Počáteční dávka přípravku Exjade závisí na tělesné hmotnosti pacienta, na užívané formě přípravku, na účelu jeho používání a na míře zatížení organismu železem. V závislosti na hladině železa v těle je pak tato dávka dle potřeby upravována, a to každých 3–6 měsíců.

Přípravek Exjade se užívá jednou denně přibližně ve stejnou dobu. Zatímco dispergovatelné tablety je třeba užívat nalačno (nejméně 30 minut před jídlem), potahované tablety a granule mohou být užívány nalačno nebo s lehkým jídlem.

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

## Jak **přípravek Exjade působí?**

Tělo není schopno železo účinně vyloučit a nadbytečné železo může způsobit poškození organismu. Léčivá látka v přípravku Exjade, deferasirox, je „chelátor železa“. Váže se na nadbytečné železo v těle, čímž vzniká sloučenina zvaná „chelát“, kterou tělo vyloučit dokáže, především ve stolici. Tím pomáhá odstranit přetížení organismu železem a zabraňuje poškození orgánů, jako jsou srdce nebo játra, v důsledku nadbytečného železa.

## Jaké **přínosy přípravku Exjade** byly prokázány v **průběhu** studií?

Pokud jde o chronické přetížení organismu železem v důsledku krevních transfuzí, přípravek Exjade byl porovnáván v jedné hlavní studii s deferoxaminem u 591 pacientů s beta-talasemií major. Přibližně polovina pacientů byla ve věku do 16 let a 56 pacientů bylo ve věku do 6 let. Účinnost přípravku byla stanovena podle hladiny železa v játrech před zahájením léčby a po jednom roce léčby. Hladina železa byla uspokojivě snížena u 53 % pacientů užívajících přípravek Exjade ve srovnání s 66 % pacientů, kteří užívali deferoxamin. Přípravek Exjade nebyl celkově tak účinný jako srovnávací léčivý přípravek. U 381 pacientů, kteří na začátku studie vykazovali obzvláště vysoké hladiny železa a kterým byla podána srovnatelná množství přípravku Exjade a deferoxaminu, však tyto dva léčivé přípravky byly stejně účinné.

Další studie zahrnovala 184 pacientů, kteří nemohli být léčeni deferoxaminem, včetně pacientů s beta-talasemií major a s jinými typy anémie. U více než poloviny těchto pacientů došlo po roce léčby přípravkem Exjade k uspokojivému snížení hladiny železa, včetně pacientů ve věku od 2 do 5 let.

V další hlavní studii zahrnující 166 pacientů ve věku od 10 let (včetně 21 pacientů ve věku od 10 do 18 let) se syndromy talasemie nezávislými na podávání krevních transfuzí a přetížením organismu železem byl přípravek Exjade účinnější než placebo (neúčinný přípravek). Hlavním měřítkem účinnosti byla změna hladiny železa v játrech po 12 měsících léčby. U pacientů léčených přípravkem Exjade se hladiny železa v játrech snížily v průměru o 3,8 mg na gram jater v porovnání s průměrným zvýšením o 0,4 mg na gram jater u pacientů léčených placebem.

## Jaká rizika jsou spojena s **přípravkem Exjade**?

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Exjade (který může postihnout více než 1 osobu z 10) je zvýšená hladina kreatininu v krvi (což je ukazatel problémů s ledvinami). Dalšími častými nežádoucími účinky (až u 1 pacienta z 10) jsou nauzea (pocit nevolnosti), zvracení, průjem, poruchy trávení, bolest břicha, zácpa, bolest hlavy, vyrážka, svědění, krevní testy ukazující zvýšené transaminázy (což může naznačovat poškození jater) a bílkovina v moči. Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Exjade je uveden v příbalové informaci.

Při podávání přípravku Exjade byly hlášeny případy selhání ledvin či jater. Před zahájením léčby by měly být provedeny testy ledvin a jater a v průběhu léčby přípravkem Exjade by tyto testy měly být v pravidelných intervalech opakovány. V závislosti na výsledcích testů může být nutné léčbu přerušit nebo zastavit.

Při podávání přípravku Exjade byly hlášeny případy metabolické acidózy (kdy tělo vytváří více kyseliny, než vylučuje), většinou u pacientů s poškozením ledvin. U pacientů, u kterých se toto onemocnění objeví, by se mělo uvažovat o přerušení léčby přípravkem Exjade.

Přípravek Exjade se nesmí používat u osob, jejichž clearance kreatininu je nižší než 60 ml za minutu. Nesmí se užívat v kombinaci s jinými chelátory železa. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

## Na základě čeho byl přípravek Exjade registrován v EU?

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

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

Společnost, která přípravek Exjade dodává na trh, musí vydat vzdělávací balíček pro zdravotnické pracovníky. Účelem tohoto balíčku je informovat o doporučeních ohledně léčby přípravkem Exjade, včetně volby správné dávky, rozdílnosti dávkování u dispergovatelných tablet ve srovnání s potahovanými tabletami nebo granulemi a o nutnosti monitorovat zdravotní stav pacienta, zejména funkci ledvin. Obdobný balíček materiálů připraví společnost také pro pacienty.

Společnost rovněž provede tyto studie: studii dlouhodobých účinků potahovaných tablet a dispergovatelných tablet u dětí starších 10 let s talasemií nezávislou na podávání krevních transfuzí a studii zaměřenou na posouzení bezpečnosti potahovaných tablet (zvláště při jejich rozdrčení) u dětí.

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

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

## Další informace o přípravku Exjade

Přípravek Exjade obdržel rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 28. srpna 2006.

Další informace k přípravku Exjade jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 07-2018.