



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549588/2018  
EMA/H/C/000670

## Exjade (*deferasirox*)

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

Hvad er Exjade, og hvad anvendes det til?

Exjade er et lægemiddel til behandling af kronisk jernophobning (overskud af jern i kroppen) hos:

- patienter fra seksårsalderen, der har svær beta-thalassæmi (en arvelig blodsygdom, hvor patienterne ikke har nok hæmoglobin i blodet), og som hyppigt får blodtransfusioner
- børn i alderen to til fem år med svær beta-thalassæmi, som hyppigt får blodtransfusioner, når deferoxamin (et andet lægemiddel til behandling af jernophobning) ikke kan anvendes eller ikke virker
- patienter fra toårsalderen med svær beta-thalassæmi, som sjældent får blodtransfusioner, når deferoxamin ikke kan anvendes eller ikke virker
- patienter fra toårsalderen, der lider af forskellige former for anæmi (lavt hæmoglobinindhold i blodet), og som får blodtransfusioner, når deferoxamin ikke kan anvendes eller ikke virker
- patienter fra 10-årsalderen med ikke-transfusionskrævende thalassæmisyndromer, når deferoxamin ikke kan anvendes eller ikke virker. Ikke-transfusionskrævende thalassæmisyndromer er blodsygdomme, der ligner svær beta-thalassæmi, men hvor der ikke er behov for blodtransfusioner. Optagelsen af for store mængder jern fra tarmen er årsag til jernophobningen hos disse patienter.

Exjade indeholder det aktive stof deferasirox.

Hvordan anvendes Exjade?

Exjade udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge med erfaring i behandling af kronisk jernophobning.

Det fås som filmovertrukne tabletter, dispergible tabletter og granulat. De filmovertrukne tabletter synkes med vand, mens de dispergible tabletter blandes med en væske for at få en opløsning, som patienten kan drikke. Granulatet drysses på en blød madvare som f.eks. yoghurt eller æblemos, som patienten spiser.



Startdosen af Exjade er baseret på patientens kropsvægt, hvilken form af lægemidlet der tages, hvad lægemidlet tages for og omfanget af jernophobning. Derefter kan doseringen efter behov justeres hver tredje til sjette måned alt efter omfanget af jernophobning.

Exjade tages én gang dagligt omkring samme tidspunkt. Mens de dispergible tabletter bør tages på tom mave (mindst 30 minutter før et måltid), kan de filmovertrukne tabletter og granulatet tages på tom mave eller sammen med et let måltid.

For mere information om brug af Exjade, se indlægssedlen eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.

## Hvordan virker Exjade?

Kroppen kan ikke fjerne jern i tilstrækkelig grad, og et overskud af jern kan medføre skade. Det aktive stof i Exjade, deferasirox, er et såkaldt jernchelerende stof. Det binder til det overskydende jern i kroppen og danner derved en forbindelse ved navn "chelate", som kroppen kan fjerne, hovedsagelig gennem afføringen. Dette medvirker til at afhjælpe jernophobningen og forebygge skader på organer som f.eks. hjertet eller leveren på grund af overskud af jern.

## Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Exjade?

I forbindelse med kronisk jernophobning som følge af blodtransfusioner blev Exjade sammenlignet med deferoxamin i ét hovedstudie hos 591 patienter med svær beta-thalassæmi. Omkring halvdelen af patienterne var under 16 år, og 56 var under seks år. Virkningen blev målt ved at undersøge jernindholdet i leveren før og efter et års behandling. Jernniveauet blev reduceret i tilfredsstillende grad hos 53 % af de patienter, der blev behandlet med Exjade, sammenholdt med 66 % af de patienter, der fik deferoxamin. Samlet set var Exjade ikke lige så effektivt som det lægemiddel, som det blev sammenlignet med. De to lægemidler var dog lige effektive hos de 381 patienter, der havde særligt højt jernindhold ved studiets begyndelse, og som havde fået Exjade eller deferoxamin i doser svarende til hinanden.

I et andet studie deltog 184 patienter, der ikke kunne behandles med deferoxamin, herunder patienter med svær beta-thalassæmi og med andre former for anæmi. Hos mere end halvdelen af disse patienter var jernniveauet reduceret i tilfredsstillende grad efter et års behandling med Exjade, herunder patienter i alderen 2-5 år.

I et andet hovedstudie med 166 patienter i alderen 10 år og opefter (herunder 21 patienter i alderen 10-18 år) med ikke-transfusionskrævende thalassæmisyndromer og jernophobning var Exjade mere effektivt end placebo (en uvirksom behandling). Det primære mål for virkningen var ændringen i jernniveauet i leveren efter 12 måneders behandling. Hos patienter, der fik Exjade, faldt jernniveauet i leveren gennemsnitligt med 3,8 mg pr. gram lever sammenholdt med en gennemsnitlig stigning på 0,4 mg pr. gram lever hos patienter, der fik placebo.

## Hvilke risici er der forbundet med Exjade?

Den hyppigste bivirkning ved Exjade (som optræder hos mere end 1 ud af 10 patienter) er øget blodkreatinin (en markør for nyreproblemer). Andre almindelige bivirkninger (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er kvalme, opkastning, diarré, fordøjelsesbesvær, mavesmerter, forstoppelse, hovedpine, udslæt, kløe, forhøjede transaminaser i blodtest (som kan indikere leverskade) og protein i urinen. Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Exjade fremgår af indlægssedlen.

Der er i forbindelse med Exjade indberettet tilfælde af nyre- og leversvigt. Der bør foretages nyre- og leverprøver, før behandlingen med Exjade indledes, og med jævne mellemrum i løbet af behandlingen. Det kan være nødvendigt at afbryde eller standse behandlingen afhængig af prøveresultaterne.

Der er i forbindelse med Exjade indberettet tilfælde af metabolisk acidose (når kroppen producerer mere syre, end den udskiller), hovedsageligt hos patienter med nedsat nyrefunktion. Hos patienter, som udvikler denne tilstand, bør det overvejes at afbryde behandlingen med Exjade.

Exjade må ikke anvendes hos patienter med en kreatinin-clearance på mindre end 60 ml pr. minut. Det må ikke anvendes sammen med andre jernchelerende midler. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

## Hvorfor blev Exjade godkendt i EU?

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

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

Virksomheden, der markedsfører Exjade, skal udsende informationsmateriale til sundhedspersoner. Materialet skal indeholde anbefalinger og instruktioner i forbindelse med Exjade-behandling, herunder valg af den rigtige dosis, forskellig dosis for filmovertrukne tabletter og dispergible tabletter og behovet for at overvåge patientens helbred, især nyrefunktionen. Virksomheden skal desuden udarbejde tilsvarende informationsmateriale til patienterne.

Virksomheden skal også gennemføre følgende studier: et studie af den langvarige virkning af filmovertrukne tabletter og dispergible tabletter hos børn over 10 år med ikke-transfusionskrævende thalassæmi og et studie af sikkerheden ved de filmovertrukne tabletter (især når de knuses) hos børn.

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

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brug af Exjade løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Exjade vurderes omhyggeligt, og der tages nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## Andre oplysninger om Exjade

Exjade fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 28. august 2006.

Yderligere information om Exjade findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).

Denne oversigt blev sidst ajourført i 07-2018.