



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549570/2018  
EMA/H/C/000670

## Exjade (deferasiroks)

### Ülevaade ravimist Exjade ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

#### Mis on Exjade ja milleks seda kasutatakse?

Exjade on ravim, mida kasutatakse kroonilise raualiigsuse raviks järgmistel patsiendirühmadel:

- vähemalt 6-aastased patsiendid, kellel on suurem beetatalasseemia (pärilik verehäire, mille korral ei ole veres piisavalt hemoglobiini) ja kes saavad sageli vereülekandeid;
- 2–5-aastased suurema beetatalasseemiaga lapsed, kes saavad sageli vereülekandeid, kui ravi deferoksamiiniga (samuti raualiigsuse ravim) on vastunäidustatud või ebapiisav;
- vähemalt 2-aastased suurema beetatalasseemiaga patsiendid, kes saavad harva vereülekandeid, kui ravi deferoksamiiniga on vastunäidustatud või ebapiisav;
- muud tüüpi aneemiaga (vere hemoglobiinivaegus) vähemalt 2-aastased patsiendid, kes saavad vereülekandeid, kui ravi deferoksamiiniga on vastunäidustatud või ebapiisav;
- vähemalt 10-aastased vereülekandest sõltumatute talasseemiasündroomidega patsiendid, kui ravi deferoksamiiniga on vastunäidustatud või ebapiisav. Vereülekandest sõltumatud talasseemiasündroomid on verehäired, mis sarnanevad suuremale beetatalasseemiale, kuid ei vaja vereülekandeid. Nendel patsientidel tekib raualiigsus raua liigse imendumise tõttu sooles.

Exjade sisaldab toimeainena deferasiroksi.

#### Kuidas Exjadet kasutatakse?

Exjade on retseptiravim. Ravi peab algama ja toimuma kroonilise raualiigsuse ravis kogunud arsti järelevalve all.

Exjadet turustatakse õhukese polümeerikattega tablettide, dispergeeruvate tablettide ja graanulitena. Õhukese polümeerikattega tabletid tuleb alla neelata koos veega ning dispergeeruvad tabletid segada vedelikuga, et valmistada patsiendile joomiseks suspensioon. Graanulid puistatakse patsiendile söömiseks pehmele toidule, näiteks jogurtile või õunapüreele.

Exjade algannus sõltub patsiendi kehakaalust, ravimvormist, ravitavast seisundist ja raualiigsuse raskusastmest. Seejärel kohandatakse annust vastavalt vajadusele, iga 3–6 kuu järel, olenevalt vere rauasisaldusest.



Exjadet manustatakse üks kord ööpäevas iga päev umbes samal kellaajal. Dispergeeruvad tabletid tuleb võtta tühja kõhuga (vähemalt 30 minutit enne sööki) ning õhukese polümeerikattega tablette ja graanuleid tohib võtta tühja kõhuga või koos kerge einega.

Lisateavet Exjade kasutamise kohta vt pakendi infolehest või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

## Kuidas Exjade toimib?

Organism ei suuda efektiivselt rauda väljutada ja liigne rauasisaldus võib olla kahjulik. Exjade toimeaine deferasiroks on rauda kelaativ aine. See seondub organismis liigse rauaga, moodustades kelaadi (teatav ühend), mis eritub organismist põhiliselt roojaga. See aitab korrigeerida raualiigsust ja ennetada raualiigsusest põhjustatud elundikahjustusi, näiteks südame- ja maksakahjustusi.

## Milles seisneb uuringute põhjal Exjade kasulikkus?

Seoses vereülekannetest põhjustatud kroonilise raualiigsusega võrreldi Exjadet ühes põhiuuringus deferoksamiiniga (uuringus osales 591 suurema beetatalasseemiaga patsienti). Ligikaudu pool patsientidest oli alla 16-aastased ja 56 patsienti alla 6-aastased. Efektiivsust mõõdeti maksa rauasisalduse põhjal enne ja pärast aastast ravi. Patsiente, kelle rahasisaldus vähenes rahuldavalt, oli Exjade uuringurühmas 53% ja deferoksamiini rühmas 66%. Exjade üldefektiivsus oli väiksem kui võrdlusravimil, kuid 381 patsiendil, kelle rauasisaldus oli uuringu algul eriti suur ning kes võtsid Exjadet ja deferoksamiini võrreldavas koguses, olid mõlemad ravimid sama efektiivsed.

Teises uuringus osales 184 patsienti, keda ei saanud ravida deferoksamiiniga, sh suurema beetatalasseemiaga patsiendid ja muud tüüpi aneemiaga patsiendid. Pärast aastast Exjade ravi oli rauasisaldus rahuldavalt vähenenud enam kui pooltel nendest patsientidest, sh 2–5-aastastel patsientidel.

Täiendavas põhiuuringus, milles osales 166 vereülekandest sõltumatute talasseemiasündroomide ja raualiigsusega vähemalt 10-aastast patsienti (21 patsienti olid 10–18-aastased), oli Exjade efektiivsem kui platseebo (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli patsientide maksa rauasisalduse muutus 12 ravikuu järel. Maksa rauasisaldus vähenes Exjadega ravitud patsientidel keskmiselt 3,8 mg võrra maksa grammi kohta (mg/g) ja platseeborühmas keskmiselt 0,4 mg/g võrra.

## Mis riskid Exjadega kaasnevad?

Exjade kõige sagedam kõrvalnäht (võib esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on vere kreatiniinisalduse suurenemine (neeruprobleemide marker). Muud sagedad kõrvalnähtud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on näiteks iiveldus, oksendamine, kõhulahtisus, seedehäired, kõhuvalu, kõhukinnisus, peavalu, lööve, sügelus, transaminaaside sisalduse suurenemine vereanalüüsidest (võib viidata maksakahjustusele) ja valk uriinis. Exjade kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Exjade kasutamisel on teatatud neeru- ja maksapuudulikkuse juhtudest. Enne Exjade-ravi algust ja regulaarselt ravi ajal peab analüüsima patsiendi neeru- ja maksafunktsiooni. Olenevalt testide tulemustest võib olla vaja ravi katkestada või peatada.

Exjade kasutamisel on teatatud metaboolse atsidoosi juhtudest (seisund, kus organismis tekib rohkem hapet kui eritub), enamasti neeruprobleemidega patsientidel. Patsientidel, kellel tekib see seisund, võib olla vaja ravi katkestada.

Exjadet ei tohi kasutada patsiendid, kelle kreatiniin kliirens on alla 60 ml minutis. Ravimit ei tohi kasutada koos teiste rauda kelaativate ainetega. Piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

## ELis Exjadele väljastatud müügiloa põhjendus

Euroopa Raviamet otsustas, et Exjade kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

### Mis meetmed võetakse, et tagada Exjade ohutu ja efektiivne kasutamine?

Exjade turustaja peab koostama tervishoiutöötajatele teabepakme. Selle eesmärk on teavitada neid Exjadega seotud ravisoovitustest, sh õige annuse valimisest, disperseeruvate tablettide ja õhukese polümeerikattega tablettide või graanulite annuse erinevusest ja vajadusest jälgida patsiendi tervist, eelkõige neerufunktsiooni. Ettevõtte koostab samalaadse pakme ka patsientidele.

Samuti korraldab ettevõtte uuringu õhukese polümeerikattega tablettide ja disperseeruvate tablettide pikaajalise toime kohta üle 10-aastastel vereülekandest sõltumatu talasseemiasündroomidega lastel ning uuringu, et hinnata õhukese polümeerikattega tablettide (eelkõige purustatuna) ohutust lastel.

Exjade ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusabinõud tervishoiutöötajatele ning patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse ka Exjade kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Exjade kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

### Muu teave Exjade kohta

Exjade on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 28. augustil 2006.

Lisateave Exjade kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 07.2018.