



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549571/2018  
EMA/H/C/000670

## Exjade (*deferasiroksi*)

Yleistiedot Exjadesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Exjade on ja mihin sitä käytetään?

Exjadea käytetään raudan kroonisen liikavarastoitumisen hoitoon seuraavissa potilasryhmissä:

- kuusivuotiaat ja sitä vanhemmat potilaat, joilla on beeta-talassemia major (peritty veritauti, jossa potilaan veressä ei ole tarpeeksi normaalia hemoglobiinia) ja jotka saavat usein verensiirtoja;
- 2–5-vuotiaat lapset, joilla on beeta-talassemia major ja jotka saavat usein verensiirtoja, kun deferoksamiinia (toinen raudan liikavarastoitumisen hoidossa käytettävä lääke) ei voida käyttää tai kun sen teho on riittämätön;
- 2-vuotiaat ja sitä vanhemmat potilaat, joilla on beeta-talassemia major ja jotka saavat satunnaisesti verensiirtoja, kun deferoksamiinia ei voida käyttää tai kun sen teho on riittämätön;
- vähintään 2 vuoden ikäiset potilaat, joilla on muuntyyppisiä anemioita (alhainen veren hemoglobiinipitoisuus) ja jotka saavat verensiirtoja, kun deferoksamiinia ei voida käyttää tai kun sen teho on riittämätön
- 10-vuotiaat ja sitä vanhemmat potilaat, joilla on verensiirroista riippumattomia talassemian oireyhtymiä, kun deferoksamiinia ei voida käyttää tai kun sen teho on riittämätön. Verensiirroista riippumattomat talassemia-oireyhtymät ovat beeta-talassemia majorin kaltaisia verisairauksia, jotka eivät kuitenkaan vaadi verensiirtoja. Raudan liikavarastoituminen aiheutuu näillä potilailla raudan liiallisesta imeytymisestä suolistosta.

Exjaden vaikuttava aine on deferasiroksi.

### Miten Exjadea käytetään?

Exjadea saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa ja sitä saa valvoa lääkäri, jolla on kokemusta raudan kroonisen liikavarastoitumisen hoidosta.

Lääkevalmistetta on saatavana kalvopäällysteisinä tabletteina, dispergoituvina tabletteina ja rakeina. Kalvopäällysteiset tabletit nielaistaan veden kanssa, ja dispergoituvat tabletit sekoitetaan nesteeseen suspensioksi, jonka potilas voi juoda. Rakeet sirotellaan pehmeään ruokaan, kuten jugurttiin tai omenasoseeseen, jonka potilas voi syödä.



Exjaden aloitusannos määräytyy potilaan painon, lääkemuodon, käyttötarkoituksen ja raudan liikavarastoitumisen vaikeusasteen mukaan. Sen jälkeen annosta säädetään tarpeen mukaan 3–6 kuukauden välein veren rautapitoisuuden mukaan.

Exjade otetaan kerran päivässä suunnilleen samaan kellonaikaan joka päivä. Dispergoituvat tabletit otetaan tyhjiin vatsaan (vähintään 30 minuuttia ennen ruokailua). Kalvopäällysteiset tabletit ja rakeet voidaan ottaa tyhjiin vatsaan tai kevyen aterian yhteydessä.

Lisätietoja Exjaden käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

## Miten Exjade vaikuttaa?

Elimistö ei pysty poistamaan rautaa tehokkaasti, ja liiallinen rautapitoisuus voi aiheuttaa vaurioita. Exjaden vaikuttava aine deferasiroksi on rautaa kelaatoiva aine. Se kiinnittyy elimistössä liialliseen rautaan ja muodostaa kelaatiksi kutsutun yhdisteen, jonka elimistö pystyy poistamaan pääasiassa ulosteen mukana. Tämä auttaa korjaamaan raudan liikavarastoitumista sekä estämään vaurioita, joita liiallinen rauta aiheuttaa elimille, kuten sydämelle ja maksalle.

## Mitä hyötyä Exjadesta on havaittu tutkimuksissa?

Verensierroista johtuvan raudan kroonisen liikavarastoitumisen osalta Exjadea verrattiin yhdessä päätutkimuksessa deferoksamiiniin 591 potilaalla, joilla oli beeta-talassemia major. Noin puolet potilaista oli alle 16-vuotiaita, ja 56 heistä oli alle 6-vuotiaita. Teho määritettiin maksan rautapitoisuutena ennen lääkehoitoa ja yhden vuoden hoidon jälkeen. Rautapitoisuus laski tyydyttävästi 53 prosentilla Exjadea saaneista potilaista ja 66 prosentilla deferoksamiinia saaneista potilaista. Exjade ei ollut yhtä tehokas kuin verrokkilääke. Kumpikin lääkevalmiste oli kuitenkin yhtä tehokas 381 potilaalla, joiden maksan rautapitoisuus oli erityisen suuri tutkimuksen alussa ja jotka saivat toisiinsa verrattavia määriä Exjadea ja deferoksamiinia.

Toiseen tutkimukseen osallistui 184 potilasta, joita ei voitu hoitaa deferoksamiinilla. Heidän joukossaan oli potilaita, joilla oli beeta-talassemia major ja muuntyyppisiä anemioita. Rautapitoisuus laski yli puolella potilaista tyydyttävästi vuoden Exjade-hoidon jälkeen. Näihin potilaisiin lukeutui myös 2–5-vuotiaita lapsia.

Toiseen päätutkimukseen osallistui 166 vähintään 10-vuotiasta potilasta (mukaan lukien 21 potilasta, joiden ikä oli 10–18 vuotta). Heillä oli talassemiaoireyhtymiä, jotka eivät riippuneet verensierroista, ja raudan liikavarastoitumista. Exjade oli tehokkaampi kuin lumelääke. Tehon pääasiallinen mitta oli muutos maksan rautapitoisuudessa 12 kuukauden hoidon jälkeen. Exjadea saaneiden potilaiden maksan rautapitoisuus laski keskimäärin 3,8 mg maksagrammaa kohden, ja lumelääkettä saaneiden potilaiden maksan rautapitoisuus nousi keskimäärin 0,4 mg maksagrammaa kohden.

## Mitä riskejä Exjadeen liittyy?

Exjaden yleisin sivuvaikutus (jota saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) on suurentunut veren kreatiniinipitoisuus (merkki munuaisongelmista). Muita yleisiä sivuvaikutuksia (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat pahoinvointi, oksentelu, ripuli, ruuansulatusvaivat, vatsakipu, ummetus, päänsärky, ihottuma, kutina, kasvaneet transaminaasiarvot verikokeissa (voivat viitata maksavaurioon) ja valkuainen virtsassa. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Exjaden sivuvaikutuksista.

Exjadea saaneilla on ilmoitettu munuaisten ja maksan vajaatoiminnan tapauksia. Ennen Exjade-hoitoa ja säännöllisesti sen aikana on otettava munuais- ja maksatestejä. Riippuen testien tuloksista hoito on mahdollisesti keskeytettävä tai lopetettava.

Exjadea käytettäessä on ilmoitettu metabolisen asidoosin tapauksista (kun elimistö tuottaa enemmän happoa kuin mitä se pystyy poistamaan), useimmiten potilailla, joilla on munuaisten vajaatoiminta. Tällaisilla potilailla on harkittava Exjaden käytön keskeyttämistä.

Exjadea ei saa käyttää potilailla, joiden kreatiniinipuhdistuma on pienempi kuin 60 ml minuutissa. Sitä ei saa käyttää yhdessä muiden rautaa kelatoivien aineiden kanssa. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

## Miksi Exjade on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Exjaden hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

## Miten voidaan varmistaa Exjaden turvallinen ja tehokas käyttö?

Exjadea markkinoivan yhtiön on toimitettava perehdytyspaketti terveydenhoidon ammattilaisille. Perehdytyspaketin tarkoituksena on tiedottaa heille Exjaden hoitosuosituksista, kuten oikean annoksen valinnasta, siitä, että dispergoituvien ja kalvopäällysteisten tablettien sekä rakeiden annokset poikkeavat toisistaan, ja siitä, että potilaan terveyttä, varsinkin munuaisten toimintaa on seurattava. Yritys laatii tällaisen paketin myös potilaille.

Lisäksi yhtiö tekee seuraavat tutkimukset: tutkimus kalvopäällysteisten ja dispergoituvien tablettien pitkäaikaisvaikutuksista yli 10-vuotiailla lapsilla, joilla on verensierroista riippumaton talassemia, sekä tutkimus, jossa arvioidaan kalvopäällysteisten tablettien (etenkin murskattuina) turvallisuutta lapsille.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Exjaden käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Exjaden käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Exjadesta ilmoitetut sivuvaikutukset arvioidaan huolellisesti, ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

## Muita tietoja Exjadesta

Exjade sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 28. elokuuta 2006.

Lisää tietoa Exjadesta on saatavissa viraston verkkosivustolta osoitteessa [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 07-2018.