



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549573/2018  
EMEA/H/C/000670

## Exjade (*deferasiroks*)

Pregled informacija o lijeku Exjade i zašto je odobren u EU-u

### Što je Exjade i za što se koristi?

Exjade je lijek koji se koristi za liječenje kroničnog preopterećenja željezom (prevelike količine željeza u tijelu) u:

- bolesnika u dobi od 6 godina i starijih koji imaju beta-talasemiju major (nasljedni poremećaj krvi pri kojem bolesnici nemaju normalne vrijednosti hemoglobina u krvi) i koji često primaju transfuziju krvi;
- djece u dobi od 2 do 5 godina s beta-talasemijom major koja često primaju transfuziju krvi u slučaju kada se deferoksamin (drugi lijek koji se koristi za liječenje preopterećenja željezom) ne može primjenjivati ili kada njegova primjena nije prikladna;
- bolesnika u dobi od 2 godine i starijih s beta-talasemijom major i neučestalim transfuzijama krvi u slučaju kada se deferoksamin ne može primjenjivati ili kada njegova primjena nije prikladna;
- bolesnika u dobi od 2 godine i starijih s drugim vrstama anemije (niskim razinama hemoglobina u krvi) i koji primaju transfuziju krvi u slučaju kada se deferoksamin ne može primjenjivati ili kada njegova primjena nije prikladna;
- bolesnika u dobi od 10 godina i starijih sa sindromima talasemije neovisnima o transfuziji u slučaju kada se deferoksamin ne može primjenjivati ili kada njegova primjena nije prikladna. Sindromi talasemije neovisni o transfuziji poremećaji su krvi slični beta-talasemiji major, ali koji ne zahtijevaju transfuziju krvi. U takvih je bolesnika preopterećenje željezom uzrokovano prekomjernom apsorpcijom željeza iz crijeva.

Lijek Exjade sadržava djelatnu tvar deferasiroks.

### Kako se Exjade koristi?

Lijek Exjade izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju kroničnog preopterećenja željezom.

Lijek je dostupan u obliku tableta obloženih filmom, tableta za oralnu suspenziju te u obliku granula. Tablete obložene filmom treba progutati s vodom, a tablete za oralnu suspenziju trebaju se pomiješati



s tekućinom radi pripreme suspenzije koju bolesnik može popiti. Granule treba posipati na meku hranu, npr. jogurt ili jabučnu kašu, koju bolesnik može pojesti.

Početna doza lijeka Exjade ovisi o tjelesnoj težini bolesnika, obliku lijeka koji se primjenjuje, razlogu za liječenje i razini preopterećenja željezom. Doza se prilagođava svaka tri mjeseca do šest mjeseci prema potrebi, ovisno o razinama željeza u krvi.

Lijek Exjade uzima se jedanput dnevno u otprilike isto doba svakoga dana. Tablete za oralnu suspenziju uzimaju se na prazan želudac (najmanje 30 minuta prije obroka), a tablete obložene filmom i granule mogu se uzimati na prazan želudac ili uz lagani obrok.

Za više informacija o primjeni lijeka Exjade pogledajte uputu o lijeku ili se obratite liječniku ili ljekarniku.

## Kako djeluje Exjade?

Tijelo ne može učinkovito ukloniti željezo te višak željeza može uzrokovati oštećenja. Djelatna tvar u lijeku Exjade, deferasiroks, jest „kelator željeza“. Veže se na višak željeza u tijelu i stvara spoj koji se naziva „kelat“ i koji se može ukloniti iz tijela, uglavnom kroz stolicu. To pomaže u ispravljanju preopterećenja željezom i sprečavanju oštećenja organa, primjerice srca ili jetre, zbog viška željeza.

## Koje su koristi od lijeka Exjade **utvrđene** u ispitivanjima?

U bolesnika s kroničnim preopterećenjem željezom zbog transfuzija krvi lijek Exjade uspoređivan je s deferoksaminom u okviru jednog glavnog ispitivanja na 591 bolesniku s beta-talasemijom major. Otprilike polovica bolesnika imala je manje od 16 godina, dok je 56 bolesnika imalo manje od 6 godina. Učinkovitost se utvrđivala na osnovi razine željeza u jetri prije i nakon jedne godine liječenja. Razina željeza zadovoljavajuće je smanjena u 53 % bolesnika koji su primali lijek Exjade, u usporedbi sa 66 % bolesnika koji su primali deferoksamin. Lijek Exjade nije u cijelosti bio jednako učinkovit kao usporedni lijek. Međutim, u 381 bolesnika koji su imali osobito visoke razine željeza na početku ispitivanja i koji su primili usporedive količine lijeka Exjade i deferoksamina, oba ta lijeka bila su jednako djelotvorna.

U drugom ispitivanju sudjelovalo je 184 bolesnika koji se nisu mogli liječiti deferoksaminom, uključujući bolesnike s beta-talasemijom major i drugim vrstama anemije. U više od polovice tih bolesnika razina željeza zadovoljavajuće je smanjena nakon jedne godine liječenja lijekom Exjade, uključujući bolesnike u dobi od 2 do 5 godina.

U još jednom glavnom ispitivanju u kojem je sudjelovalo 166 bolesnika u dobi od 10 godina i starijih (uključujući 21 bolesnika u dobi od 10 do 18 godina) sa sindromima talasemije neovisnima o transfuziji i preopterećenjem željezom, lijek Exjade pokazao se učinkovitijim od placeba (prividno liječenje). Glavna mjera učinkovitosti bila je promjena razine željeza u jetri nakon 12 mjeseci liječenja. U bolesnika liječenih lijekom Exjade razine željeza u jetri u prosjeku su se smanjile za 3,8 mg po gramu jetre, dok su se u bolesnika liječenih placebom te razine povećale za prosječno 0,4 mg po gramu jetre.

## Koji su rizici povezani s lijekom Exjade?

Najčešća nuspojava lijeka Exjade (koja se može javiti u više od 1 na 10 osoba) jest povišena razina kreatinina u krvi (marker problema s bubrezima). Ostale česte nuspojave (u do 1 na 10 bolesnika) jesu mučnina (osjećaj slabosti), povraćanje, proljev, loša probava, abdominalna bol (bol u trbuhu), zatvor, glavobolja, osip, svrbež, povišene transaminaze zabilježene u krvnim pretragama (što može upućivati

na oštećenje jetre) i bjelančevine u mokraći. Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Exjade potražite u uputi o lijeku.

Pri uporabi lijeka Exjade zabilježeni su slučajevi zatajenja bubrega i jetre. Pretrage funkcija bubrega i jetre treba provoditi prije početka liječenja i u redovitim vremenskim razmacima tijekom uzimanja lijeka Exjade. Možda će biti potrebno prekinuti ili obustaviti liječenje, ovisno o rezultatima pretraga.

Pri uporabi lijeka Exjade zabilježeni su slučajevi metaboličke acidoze (stanja u kojem tijelo proizvodi više kiseline nego što je izlučuje), većinom u bolesnika s oštećenjem bubrega. U bolesnika kod kojih je nastalo to stanje trebalo bi razmotriti prekid liječenja lijekom Exjade.

Lijek Exjade ne smiju uzimati ljudi koji imaju klirens kreatinina manji od 60 ml/min. Ne smije se primjenjivati u kombinaciji s drugim kelatorima željeza. Potpuni popis ograničenja povezanih s primjenom potražite u uputi o lijeku.

## Zašto je lijek Exjade odobren u EU-u?

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Exjade nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u Europskoj uniji.

## Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Exjade?

Tvrtka koja proizvodi lijek Exjade mora objaviti edukacijski paket za zdravstvene radnike. Svrha tog paketa jest obavijestiti zdravstvene radnike o preporukama za liječenja lijekom Exjade, uključujući odabir prave doze, o razlikovanju doze ovisno o tome uzima li bolesnik tablete za oralnu suspenziju ili tablete obložene filmom ili granule te o tome da je potrebno nadzirati bolesnikovo zdravstveno stanje, osobito funkciju rada bubrega. Tvrtka će sličan paket pripremiti i za bolesnike.

Osim toga, tvrtka će provesti sljedeća ispitivanja: ispitivanje o dugoročnim koristima tableta obloženih filmom i tableta za oralnu suspenziju na djeci starijoj od 10 godina s talasemijom neovisnom o transfuziji te ispitivanje u okviru kojeg bi se ocjenjivala sigurnost tableta obloženih filmom u djece (osobito kada su zdrobljene).

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Eliquis nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Exjade kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Exjade pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

## Ostale informacije o lijeku Exjade

Lijek Exjade dobio je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 28. kolovoza 2006.

Više informacija o lijeku Exjade možete naći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).

Ovaj pregled informacija posljednji je put ažuriran u 7. 2018.