



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549574/2018  
EMA/H/C/000670

## Exjade (*deferazirox*)

Az Exjade nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer az Exjade és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Exjade egy olyan gyógyszer, amelyet a krónikus vastülterhelés (túlzott mértékű vas jelenléte a szervezetben) kezelésére alkalmaznak a következő betegcsoportoknál:

- hatéves kortól, béta-talasszémia majorban (örökletes vérbetegség, amikor nincs elég normál hemoglobin a vérben) **szenvedő** betegeknél, akik gyakran kapnak vértranszfúziót;
- 2-5 éves korú, béta-talasszémia majorban **szenvedő** gyermekeknél, akik gyakran kapnak vértranszfúziót, amikor a deferoxamin (egy másik, a vastülterhelés kezelésére alkalmazott gyógyszer) nem alkalmazható vagy nem **megfelelő**;
- kétéves kortól, béta-talasszémia majorban **szenvedő** betegeknél, akik ritkábban kapnak vértranszfúziót, amikor a deferoxamin nem alkalmazható vagy nem **megfelelő**;
- kétéves kortól, más típusú vérszegénységben (alacsony hemoglobinszint a vérben) **szenvedő** betegeknél, akik vértranszfúziót kapnak, amikor a deferoxamin nem alkalmazható vagy nem **megfelelő**;
- tízéves kortól, vértranszfúziótól nem **függő** talasszémia szindrómákban **szenvedő** betegeknél, amikor a deferoxamin nem alkalmazható vagy nem **megfelelő**. A vértranszfúziótól nem **függő** talasszémia szindrómák a béta-talasszémia majorhoz hasonló vérrendellenességek, amelyek kezeléséhez azonban nem szükséges vértranszfúzió. Ezeknél a betegeknél a vastülterhelést a vas túlzott felszívódása okozza a bélben.

Az Exjade hatóanyaga a deferazirox.

## Hogyan kell alkalmazni az Exjade-et?

Az Exjade csak receptre kapható, és a kezelést a krónikus vastülterhelés kezelésében tapasztalt orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A gyógyszer filmtabletta, diszpergálódó tabletták és granulátum formájában kapható. A filmtablettát vízzel kell lenyelni, a diszpergálódó tablettát pedig folyadékban kell elkeverni szuszpenziót képezve,



amelyet a beteg megihat. A granulátumot pépes ételre, például joghurtra vagy almaszószra kell szórni, amelyet a beteg elfogyaszthat.

Az Exjade **kezdő** adagja a beteg testsúlyától, valamint attól függ, hogy a gyógyszer melyik formáját szedi, milyen betegség kezelésére alkalmazzák a gyógyszert, továbbá a vastülterhelés **mértékétől**. Az adag szükség szerint, 3-6 havonta a vér vasszintjének függvényében módosítható.

Az Exjade-et naponta egyszer, körülbelül azonos **időpontban** kell bevenni. A diszpergálódó tablettát éhgyomorra (legalább 30 perccel étkezés **előtt**) kell bevenni, a filmtablettát és a granulátumot be lehet venni éhgyomorra vagy **könnyű** étkezés közben is.

További információért az Exjade alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

## Hogyan fejt ki hatását az Exjade?

A szervezet nem képes hatékonyan eltávolítani a vasat és a többlet vas károsodást okozhat. Az Exjade hatóanyaga, a deferazirox egy „vaskelátor”. A szervezetben a többlet vashoz **kötődve** egy „kelát” **elnevezésű** vegyületet képez, amely **főleg** a széklettel képes kiürülni a **szervezetből**. Ez segít megszüntetni a vastülterhelést és **megelőzni** a szervek, például a szív vagy a máj vastöbblet miatti károsodását.

## Milyen **előnyei** voltak az Exjade alkalmazásának a vizsgálatok során?

Vértranszfúziók miatt **jelentkező**, krónikus vastülterhelés esetében egy **fő** vizsgálatban az Exjade-et deferoxaminnal hasonlították össze 591, béta-talasszémia majorban **szenvedő** beteg részvételével. A betegek körülbelül fele 16 év alatti, 56 beteg pedig 6 évesnél fiatalabb volt. A hatásosságot a májban a kezelést **megelőző** és egy év kezelést **követő** vasszint alapján határozták meg. A vasszint **kellő** mértékben csökkent az Exjade-del kezelt betegek 53%-ánál, míg a deferoxaminnal ez az arány 66% volt. Az Exjade összességében nem volt olyan hatásos, mint a komparátor gyógyszer. Annál a 381 betegnél azonban, akiknek a vizsgálat kezdetén különösen magas volt a vasszintjük és összehasonlítható **mennyiségű** Exjade-et és deferoxamint kaptak, a két gyógyszer ugyanolyan hatásos volt.

Egy másik vizsgálatban 184, olyan beteg vett részt, akiket deferoxaminnal nem lehetett kezelni, beleértve a béta-talasszémia majorban és az egyéb típusú vérszegénységben **szenvedő** betegeket is. Ezen betegek több mint felénél a vasszint **kellő** mértékben csökkent az egyéves Exjade-kezelést **követően**, beleértve a 2-5 év közötti betegeket is.

Egy további **fő** vizsgálatban 166, legalább 10 éves beteg részvételével (köztük 21 beteg 10-18 év közötti volt), akik nem **transzfúziófüggő** talasszémia szindrómában és vastülterhelésben szenvedtek, az Exjade hatékonyabb volt a placebónál (hatóanyag nélküli kezelés). A **fő** hatékonysági mutató a máj vasszintjének változása volt 12 hónapos kezelés után. Az Exjade-del kezelt betegeknél a májban a vasszint átlagos csökkenése 3,8 mg/1 g májszövet volt, szemben a placebóval kezelték 0,4 mg/1 g májszövet átlagos növekedésével.

## Milyen kockázatokkal jár az Exjade alkalmazása?

Az Exjade leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a megemelkedett kreatininszint a vérben (veseproblémák markere). Az egyéb gyakori mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél) közé tartozik a hányinger, hányás, hasmenés, emésztési zavar, hasi fájdalom, székrekedés, fejfájás, kiütés, viszketés, emelkedett transzaminázszintek a vérvizsgálat során

(májkárosodásra utalhat) és a fehérje a vizeletben. Az Exjade alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Exjade alkalmazásával kapcsolatban vese- és májelégtelenség eseteiről számoltak be. A kezelés megkezdése előtt és az Exjade-kezelés alatt rendszeres időközönként vese- és májfunkciós vizsgálatokat kell végezni. A vizsgálatok eredményétől függően a kezelés megszakítására vagy leállítására lehet szükség.

Az Exjade alkalmazásával kapcsolatban metabolikus acidózis (amikor a szervezet több savat termel, mint amennyit ürít) eseteit jelentették, főként vesekárosodásban szenvedő betegeknél. Mérlegelni kell az Exjade-kezelés leállításának lehetőségét azoknál a betegeknél, akiknél ez az állapot lép fel.

Az Exjade nem alkalmazható olyan személyeknél, akik kreatinin clearance-e 60 ml/perc alatti. Más vaskelátorokkal együtt nem alkalmazható. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## Miért engedélyezték az Exjade forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Exjade alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

## Milyen intézkedések vannak folyamatban az Exjade biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Exjade-et forgalmazó vállalatnak oktatócsomagot kell kiadnia az egészségügyi szakemberek számára. A csomag célja tájékoztatást nyújtani a számukra az Exjade terápiás ajánlásairól, beleértve a megfelelő adag kiválasztását, az adagok eltérését a diszpergálódó és filmtabletták, valamint a granulátum esetében, továbbá a beteg egészségi állapota, különösen a vesefunkció figyelemmel kísérésének szükségességét is. A vállalat a betegek számára is hasonló csomagot állít össze.

Ezenfelül a vállalat a következő vizsgálatokat fogja elvégezni: egy vizsgálatot a filmtabletta és a diszpergálódó tabletták hosszú távú hatásaival kapcsolatban olyan, 10 év feletti gyermekeknél, akik nem transzfúziófüggő talasszémiában szenvednek, valamint egy vizsgálatot a filmtabletta biztonságosságának értékelésére (különösen, ha összetörik azt) gyermekeknél.

Az Exjade biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Exjade alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. Az Exjade alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## Az Exjade-del kapcsolatos egyéb információ

2006. augusztus 28-án az Exjade megkapta az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt.

További információ az Exjade gyógyszeréről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 07-2018.