



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549577/2018
EMA/H/C/000670

Exjade (*deferazirokss*)

Exjade pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Exjade un **kāpēc tās** lieto?

Exjade ir zāles, ko lieto hroniskas dzelzs pārslodzes (pārmērīga dzelzs daudzuma organismā) ārstēšanai šādiem pacientiem:

- pacientiem no 6 gadu vecuma, kuriem ir bēta talasēmijas (iedzimta slimība, kuras dēļ pacientiem asinīs ir nepietiekams hemoglobīna daudzums) smagā formā un kuriem tiek bieži veikta asins pārliešana;
- bērniem vecumā no 2 līdz 5 gadiem ar bēta talasēmijas smago formu, kuriem bieži tiek veikta asins pārliešana, ja nevar lietot deferoksamīnu (citas zāles dzelzs pārslodzes ārstēšanai) vai šīs zāles nav pietiekami efektīvas;
- pacientiem no 2 gadu vecuma ar bēta talasēmijas smago formu, kuriem bieži tiek veikta asins pārliešana, ja deferoksamīnu nevar lietot vai šīs zāles nav pietiekami efektīvas;
- pacientiem no 2 gadu vecuma, kuriem ir cita veida anēmija (zems hemoglobīna līmenis asinīs) un kuriem tiek veikta asins pārliešana, ja nevar lietot deferoksamīnu vai ja šīs zāles nav pietiekami efektīvas;
- pacientiem no 10 gadu vecuma, kuriem ir ar asins pārliešanu nesaistīta talasēmija, ja nevar lietot deferoksamīnu vai šīs zāles nav pietiekami efektīvas. Ar asins pārliešanu nesaistītas talasēmijas sindromi ir bēta talasēmijas smagajai formai līdzīgas asins slimības, bet to ārstēšanai nav nepieciešama asins pārliešana. Šiem pacientiem dzelzs pārslodzi izraisa dzelzs pārmērīga uzsūkšanās no zarnām.

Exjade satur aktīvo vielu deferaziroksu.

Kā lieto Exjade?

Exjade var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana jāuzsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi hroniskas dzelzs pārslodzes ārstēšanā.

Tās ir pieejamas kā apvalkotas tabletes, disperģējamas tabletes un granulas. Apvalkotās tabletes norij, uzdzertot ūdeni, disperģējamās tabletes samaisa ar šķidrumu, lai iegūtu suspensiju, ko pacients var



izdzert. Granulas uzkausa uz mīksta ēdiena, piemēram, jogurta vai ābolu biezeņa, kuru pacients var apēst.

Exjade sākumdeva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas, zāļu formas, zāļu lietošanas iemesla un dzelzs pārslodzes līmeņa. Devu pielāgo pēc vajadzības atkarībā no dzelzs līmeņa asinīs ik pēc 3 līdz 6 mēnešiem.

Exjade lieto reizi dienā apmēram vienā un tajā pašā laikā. Disperģējamās tabletes jālieto tukšā dūšā (vismaz 30 minūtes pirms ēšanas), un apvalkotās tabletes un granulas drīkst lietot tukšā dūšā vai ar vieglu maltīti.

Papildu informāciju par *Exjade* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Exjade* darbojas?

Organisms nevar efektīvi izvadīt dzelzi, un liekais dzelzs daudzums var radīt kaitējumu. *Exjade* aktīvā viela deferazirokss ir „dzelzs helators”. Tas organismā piesaistās liekajam dzelzs daudzumam, veidojot „helātu”, ko organisms var izvadīt, galvenokārt ar izkārnījumiem. Tas palīdz koriģēt dzelzs pārslodzi un novērst pārmērīga dzelzs daudzuma izraisītus bojājumus tādiem orgāniem kā sirds vai aknas.

Kādi *Exjade* ieguvumi atklāti pētījumos?

Ar asins pārliešanu saistītas hroniskas dzelzs pārslodzes gadījumā *Exjade* novērtēja vienā pamatpētījumā, iekļaujot tajā 591 pacientu ar bēta talasēmijas smago formu. *Exjade* tika salīdzināta ar deferoksamīnu. Aptuveni puse pacientu bija vecumā līdz 16 gadiem, un 56 pacienti bija jaunāki par 6 gadiem. Efektivitāti vērtēja, nosakot dzelzs līmeni aknās pirms terapijas un pēc vienu gadu ilgas ārstēšanas. Apmierinošs dzelzs līmeņa samazinājums tika panākts 53 % pacientu, kuri saņēma *Exjade*, salīdzinot ar 66 % pacientu, kuri saņēma deferoksamīnu. *Exjade* kopumā nebija tik efektīvas kā salīdzināmās zāles. Tomēr, analizējot datus par 381 pacientu ar īpaši augstu dzelzs līmeni aknās pētījuma sākumā, kuri saņēma salīdzināmu *Exjade* un deferoksamīna daudzumu, var secināt, ka abas zāles bija vienlīdz efektīvas.

Citā pētījumā piedalījās 184 pacienti, kuru ārstēšanai nevarēja lietot deferoksamīnu, tostarp pacienti ar bēta talasēmijas smago formu un citiem anēmijas veidiem. Pēc vienu gadu ilgas ārstēšanas ar *Exjade* vairāk nekā pusei no pacientu tika panākts apmierinošs dzelzs līmeņa samazinājums, tostarp pacientiem no 2 līdz 5 gadu vecumam.

Citā pamatpētījumā, piedaloties 166 pacientiem no 10 gadu vecuma (tostarp 21 pacientam vecumā no 10 līdz 18 gadiem), kuriem bija ar asins pārliešanu nesaistītas talasēmijas sindromi un dzelzs pārslodze, *Exjade* bija efektīvākas nekā placebo (zāļu imitācija). Galvenais efektivitātes rādītājs bija dzelzs līmeņa izmaiņas aknās pēc 12 mēnešus ilgas ārstēšanas. Ar *Exjade* ārstētajiem pacientiem dzelzs līmenis samazinājās par vidēji 3,8 mg uz vienu gramu aknu, salīdzinot ar vidējo samazinājumu par 0,4 mg uz vienu gramu aknu pacientiem, kuri saņēma placebo.

Kāds risks pastāv, lietojot *Exjade*?

Visbiežākās *Exjade* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir paaugstināts kreatinīna līmenis asinīs (nieru slimību marķieris). Citas bieži sastopamas blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir nelabums (slikta dūša), vemšana, caureja, gremošanas traucējumi, sāpes vēderā, aizcietējumi, galvassāpes, izsitumi, nieze, paaugstināts transamināžu līmenis asinīs (kas

var liecināt par aknu bojājumiem) un olbaltumvielas urīnā. Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Exjade*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Lietojuot *Exjade*, ir ziņots par nieru un aknu darbības traucējumiem. Nieru un aknu testi ir jāveic pirms ārstēšanas sākšanas un ar regulāriem starplaikiem ārstēšanas laikā ar *Exjade*. Atkarībā no testu rezultātiem var rasties vajadzība ārstēšanu pārtraukt uz laiku vai pilnībā.

Par metabolās acidozes (kad organisms ražo vairāk skābes nekā izvada) gadījumiem, lietojot *Exjade*, tika ziņots galvenokārt attiecībā uz pacientiem ar nieru darbības traucējumiem. Šādu pacientu gadījumā ir jāapsver ārstēšanas ar *Exjade* pārtraukšana.

Exjade nedrīkst lietot cilvēki, kuru kreatinīna klirensa līmenis ir zemāks par 60 ml minūtē. Tās nedrīkst lietot kombinācijā ar citiem dzelzs helatoriem. Pilnu ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Exjade* ir reģistrētas ES?

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Exjade*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek **darīts**, lai **garantētu** drošu un **efektīvu** *Exjade* lietošanu?

Uzņēmumam, kas *Exjade* piedāvā tirgū, jāpublicē izglītojoši materiāli veselības aprūpes speciālistiem. Šo materiālu mērķis ir sniegt informāciju par ieteikumiem ārstēšanā ar *Exjade*, tostarp par pareizas devas izvēli, jo devas apvalkotajām tabletēm un disperģējamām tabletēm vai granulām ir atšķirīgas, kā arī par vajadzību uzraudzīt pacientu veselības stāvokli, īpaši nieru darbību. Līdzīgus materiālus uzņēmums sagatavos arī pacientiem.

Uzņēmums veiks arī šādus pētījumus: pētījumu par apvalkoto tablešu un disperģējamo tablešu ilgtermiņa efektivitāti bērniem no 10 gadu vecuma, kuriem ir ar asins pārliešanu nesaistīta talasēmija, un pētījumu, kurā tiks vērtēts apvalkoto tablešu (īpaši sasmalcinātu tablešu) drošums bērniem.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai **garantētu** drošu un **efektīvu** *Exjade* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Exjade* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Exjade* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita **informācija** par *Exjade*

2006. gada 28. augustā *Exjade* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Exjade* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2018.07.