



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549581/2018  
EMA/H/C/000670

## Exjade (*deferasirox*)

Um resumo sobre Exjade e porque está autorizado na UE

### O que é Exjade e para que é utilizado?

Exjade é um medicamento utilizado no tratamento da sobrecarga crónica de ferro (um excesso de ferro no organismo) em:

- doentes com 6 ou mais anos de idade, com beta talassemia major (uma doença no sangue hereditária em que os doentes não têm hemoglobina normal suficiente no sangue) e que recebem transfusões de sangue frequentes;
- crianças com idades compreendidas entre os 2 e os 5 anos, com beta talassemia major e que recebem transfusões de sangue frequentes, quando a deferoxamina (outro medicamento usado no tratamento da sobrecarga de ferro) está contraindicada ou a sua utilização não é adequada;
- doentes com 2 ou mais anos de idade com beta talassemia major e que recebem transfusões de sangue pouco frequentes, quando a deferoxamina está contraindicada ou a sua utilização não é adequada;
- doentes com 2 ou mais anos de idade que sofrem de outros tipos de anemia (níveis baixos de hemoglobina no sangue) e que recebem transfusões de sangue, quando a desferroxamina está contraindicada ou a sua utilização não é adequada;
- doentes com 10 ou mais anos de idade com síndromes de talassemia não dependentes de transfusões, quando a deferoxamina está contraindicada ou a sua utilização não é adequada. As síndromes de talassemia não dependentes de transfusões são doenças no sangue semelhantes à beta talassemiaemia major mas que não necessitam de transfusões de sangue. Nestes doentes, a sobrecarga de ferro é causada pela absorção excessiva de ferro pelo intestino.

Exjade contém a substância ativa deferasirox.

### Como se utiliza Exjade?

Exjade só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento da sobrecarga crónica de ferro.

Está disponível na forma de comprimidos revestidos por película, comprimidos dispersíveis e granulado. Os comprimidos revestidos por película destinam-se a ser engolidos com água, enquanto os



comprimidos dispersíveis destinam-se a ser misturados com um líquido para obter uma suspensão que possa ser ingerida pelo doente. O granulado é misturado em alimentos moles, tais como iogurte ou puré de maçã, que o doente possa comer.

A dose inicial de Exjade depende do peso corporal do doente, da forma farmacêutica do medicamento que está a ser tomado, da finalidade para que o medicamento está a ser utilizado e do nível de sobrecarga de ferro. A dose é subsequentemente ajustada conforme necessário, a cada 3 a 6 meses, consoante os níveis de ferro no sangue.

Exjade é tomado uma vez por dia, aproximadamente à mesma hora. Os comprimidos dispersíveis devem ser tomados em jejum (pelo menos 30 minutos antes da ingestão de alimentos), ao passo que os comprimidos revestidos por película e o granulado podem ser tomados em jejum ou com uma refeição ligeira.

Para mais informações sobre a utilização de Exjade, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

## Como funciona Exjade?

O organismo não consegue remover eficazmente o ferro e o excesso de ferro pode provocar danos. A substância ativa de Exjade, o deferasirox, é um quelante do ferro. O deferasirox liga-se ao ferro em excesso no organismo para formar um composto designado «quelado», que pode ser removido pelo organismo, principalmente nas fezes. Isto ajuda a corrigir a sobrecarga de ferro e a prevenir as lesões em órgãos como o coração ou o fígado causadas pelo excesso de ferro.

## Quais os benefícios demonstrados por Exjade durante os estudos?

Na sobrecarga crónica de ferro devida a transfusões de sangue, um estudo principal comparou Exjade com a desferroxamina em 591 doentes com beta talassemia major. Aproximadamente metade dos doentes tinha menos de 16 anos de idade e 56 tinham menos de 6 anos de idade. A eficácia foi determinada pelo nível de ferro contido no fígado antes e depois de um ano de tratamento. O nível de ferro foi reduzido satisfatoriamente em 53 % dos doentes que receberam Exjade em comparação com 66 % dos doentes que receberam a desferroxamina. Globalmente, Exjade não foi tão eficaz quanto o medicamento comparador. Contudo, no caso dos 381 doentes que tinham níveis particularmente elevados de ferro no início do estudo e que receberam quantidades comparáveis de Exjade e de desferroxamina, ambos os medicamentos foram igualmente eficazes.

Um outro estudo incluiu 184 doentes em que o tratamento com desferroxamina estava contraindicado, incluindo doentes com beta talassemia major e com outros tipos de anemia. Em mais de metade desses doentes o nível de ferro foi reduzido satisfatoriamente após um ano de tratamento com Exjade, incluindo doentes com idades compreendidas entre os 2 e os 5 anos.

Num outro estudo principal que incluiu 166 doentes com idades iguais ou superiores a 10 anos (incluindo 21 doentes com idades compreendidas entre os 10 e os 18 anos) com síndromes de talassemia não dependentes de transfusões e sobrecarga de ferro, Exjade foi mais eficaz do que o placebo (um tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia foi a alteração dos níveis de ferro no fígado após 12 meses de tratamento. Em doentes tratados com Exjade, os níveis de ferro no fígado diminuíram em média 3,8 mg por grama de fígado em comparação com um aumento médio de 0,4 mg por grama de fígado em doentes tratados com o placebo.

## Quais são os riscos associados a Exjade?

O efeito secundário mais frequente associado a Exjade (que pode afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) é o aumento da creatinina (um marcador de problemas renais) no sangue. Outros efeitos secundários frequentes (que podem afetar 1 doente em cada 10) incluem náuseas (enjoos), vômitos, diarreia, indigestão, dor abdominal (de barriga), obstipação (prisão de ventre), dor de cabeça, erupção cutânea, comichão, análises sanguíneas que indicam transaminases aumentadas (o que pode sugerir lesões no fígado) e proteína na urina. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Exjade, consulte o Folheto Informativo.

Foram notificados casos de insuficiência renal e hepática com Exjade. Devem ser realizados exames aos rins e ao fígado antes do início do tratamento e a intervalos regulares durante o tratamento com Exjade. O tratamento pode ter de ser suspenso ou interrompido, dependendo dos resultados dos exames.

Foram notificados casos de acidose metabólica (quando o organismo produz mais ácido do que o que elimina), sobretudo em doentes com deficiência renal. A interrupção do tratamento com Exjade deve ser considerada em doentes que desenvolvam esta patologia.

Exjade não deve ser utilizado em pessoas cuja depuração de creatinina seja inferior a 60 ml por minuto. O medicamento é igualmente contraindicado em associação com outros quelantes do ferro. Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

## Porque está Exjade autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Exjade são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

## Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Exjade?

A empresa que produz Exjade tem de facultar um pacote informativo aos profissionais de saúde. Este pacote visa informá-los sobre as recomendações de tratamento com Exjade, incluindo a escolha da dose certa, a diferença entre as doses dos comprimidos dispersíveis e a dos comprimidos revestidos por película ou do granulado, e a necessidade de monitorizar a saúde do doente, especialmente a função renal. A empresa também preparará um pacote semelhante destinado aos doentes.

A empresa realizará também os seguintes estudos: um estudo sobre os efeitos a longo prazo dos comprimidos revestidos por película e dos comprimidos dispersíveis em crianças com mais de 10 anos de idade com talassemia não dependente de transfusões; e um estudo para avaliar a segurança dos comprimidos revestidos por película (em particular quando são esmagados) em crianças.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Exjade.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Exjade são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Exjade são cuidadosamente avaliados e são tomadas todas as medidas necessárias para proteger os doentes.

## Outras informações sobre Exjade

Em 28 de agosto de 2006, Exjade recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Mais informações sobre Exjade podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:  
[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Este resumo foi atualizado pela última vez em 07-2018.