



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549582/2018
EMA/H/C/000670

Exjade (*deferasirox*)

O prezentare generală a Exjade și de ce este autorizat acest medicament în UE

Ce este Exjade și pentru ce se **utilizează**?

Exjade este un medicament utilizat pentru tratarea supraîncărcării cronice cu fier (exces de fier în organism) la:

- pacienți în vârstă de cel puțin 6 ani care suferă de beta talasemie majoră (o boală a sângelui ereditară în care pacienții nu au suficientă hemoglobină normală în sânge) și care primesc frecvent transfuzii de sânge;
- copiii cu vârsta cuprinsă între 2 și 5 ani cu beta talasemie majoră care primesc frecvent transfuzii de sânge, atunci când deferoxamina (alt medicament pentru tratarea supraîncărcării cu fier) nu poate fi folosită sau nu este adecvată;
- pacienți în vârstă de cel puțin 2 ani cu beta talasemie majoră care primesc ocazional transfuzii de sânge, atunci când deferoxamina nu poate fi folosită sau nu este adecvată;
- pacienți în vârstă de cel puțin 2 ani care suferă de alte tipuri de anemie (niveluri scăzute de hemoglobină în sânge) și care primesc transfuzii de sânge, atunci când deferoxamina nu poate fi folosită sau nu este adecvată;
- pacienți în vârstă de cel puțin 10 ani cu sindroame talasemice independente de transfuzii, atunci când deferoxamina nu poate fi folosită sau nu este adecvată. Sindroamele talasemice independente de transfuzii sunt boli ale sângelui similare cu beta talasemia majoră, dar care nu necesită transfuzii de sânge. La acești pacienți, supraîncărcarea cu fier este cauzată de absorbția excesivă de fier la nivelul intestinului.

Exjade conține substanța activă deferasirox.

Cum se **utilizează** Exjade?

Exjade se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul supraîncărcării cronice cu fier.

Medicamentul este disponibil sub formă de comprimate filmate, comprimate dispersabile și granule. Comprimatele filmate trebuie înghițite cu apă, iar comprimatele dispersabile trebuie amestecate cu un



lichid pentru a se obține o suspensie pe care pacientul poate să o bea. Granulele trebuie presărate pe alimente moi, de exemplu iaurt sau sos de mere, pentru ca pacientul să le poată mânca.

Doza inițială de Exjade depinde de greutatea corporală a pacientului, de forma sub care se administrează medicamentul, de boala pentru care se utilizează medicamentul și de nivelul supraîncărcării cu fier. Ulterior, doza se ajustează după necesități, o dată la 3 până la 6 luni, în funcție de concentrația de fier din sânge.

Exjade se administrează o dată pe zi la aproximativ aceeași oră. Comprimatele dispersabile trebuie luate pe stomacul gol (cu cel puțin 30 de minute înainte de masă), iar comprimatele filmate și granulele se pot lua pe stomacul gol sau în timpul unei mese ușoare.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Exjade, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Exjade?

Organismul nu poate elimina fierul în mod eficace, iar excesul de fier poate să dăuneze. Substanța activă din Exjade, deferasiroxul, este un „chelator al fierului”. Substanța se leagă de fierul în exces din organism, formând un compus numit „chelat”, care poate fi eliminat de organism, în principal prin scaun. Astfel se poate corecta supraîncărcarea cu fier și se poate preveni afectarea unor organe, precum inima sau ficatul, din cauza excesului de fier.

Ce beneficii a prezentat Exjade pe parcursul studiilor?

În supraîncărcarea cronică cu fier cauzată de transfuziile de sânge, un studiu principal a comparat Exjade cu deferoxamina la 591 de pacienți cu beta talasemie majoră. Aproximativ jumătate din pacienți aveau vârste sub 16 ani, iar 56 aveau vârste sub 6 ani. Eficacitatea a fost stabilită în funcție de concentrația de fier din ficat, măsurată înainte și după un an de tratament. Concentrația de fier s-a redus în mod satisfăcător la 53 % din pacienții cărora li s-a administrat Exjade, comparativ cu 66 % din pacienții cărora li s-a administrat deferoxamină. În general, Exjade nu a fost la fel de eficace ca medicamentul comparator, însă cele două medicamente au prezentat aceeași eficacitate la cei 381 de pacienți care prezentau concentrații de fier deosebit de mari la începutul studiului și care au primit doze comparabile de Exjade sau de deferoxamină.

Un alt studiu a cuprins 184 de pacienți care nu puteau fi tratați cu deferoxamină, inclusiv pacienți cu beta talasemie majoră și cu alte tipuri de anemie. Concentrația de fier s-a redus în mod satisfăcător după un an de tratament cu Exjade la mai mult de jumătate din acești pacienți, inclusiv la cei cu vârsta cuprinsă între 2 și 5 ani.

Într-un alt studiu principal, care a cuprins 166 de pacienți în vârstă de cel puțin 10 ani (inclusiv 21 de pacienți cu vârsta cuprinsă între 10 și 18 ani), cu supraîncărcare cu fier și sindroame talasemice independente de transfuzii, Exjade a fost mai eficace decât placebo (un preparat inactiv). Principala măsură a eficacității a fost modificarea concentrațiilor de fier din ficat după 12 luni de tratament. La pacienții tratați cu Exjade, concentrațiile de fier din ficat au scăzut în medie cu 3,8 mg pe gram de ficat, față de o creștere medie cu 0,4 mg pe gram de ficat la pacienții tratați cu placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Exjade?

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Exjade (care poate afecta mai mult de 1 persoană din 10) este creșterea creatininei din sânge (un indicator al problemelor de rinichi). Alte reacții adverse frecvente (la cel mult 1 pacient din 10) includ greață, vărsături, diaree, indigestie, dureri abdominale

(de burtă), constipație, dureri de cap, erupții pe piele, mâncărimi, valori crescute ale transaminazelor în analizele de sânge (ceea ce poate să sugereze leziuni hepatice) și prezența proteinelor în urină. Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Exjade, citiți prospectul.

S-au raportat cazuri de insuficiență renală și hepatică în asociere cu Exjade. Trebuie efectuate analize pentru rinichi și ficat înainte de începerea tratamentului și la intervale regulate în timpul tratamentului cu Exjade. În funcție de rezultatele analizelor, poate fi necesară întreruperea sau oprirea tratamentului.

S-au raportat cazuri de acidoză metabolică (când organismul produce mai mult acid decât elimină) în asociere cu Exjade, în cea mai mare parte la pacienți cu insuficiență renală. Trebuie avută în vedere întreruperea tratamentului cu Exjade la pacienții la care apare această afecțiune.

Exjade este contraindicat la persoanele la care clearance-ul creatininei este sub 60 ml/minut. Este contraindicat în asociere cu alți chelatori ai fierului. Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Exjade în UE?

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Exjade sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Exjade?

Compania care produce Exjade trebuie să publice un pachet educativ pentru personalul medical. Scopul pachetului este să-i informeze pe aceștia cu privire la recomandările legate de tratamentul cu Exjade, inclusiv despre alegerea dozei adecvate, despre faptul că dozele sunt diferite pentru comprimatele dispersabile față de cele pentru comprimatele filmate sau pentru granule și despre necesitatea de a urmări starea de sănătate a pacientului, în special funcția renală. Compania va pregăti un pachet similar și pentru pacienți.

De asemenea, compania va efectua următoarele studii: un studiu cu privire la efectele pe termen lung ale comprimatelor filmate și ale comprimatelor dispersabile la copii cu vârsta de peste 10 ani care au talasemie independentă de transfuzii; și un studiu de evaluare a siguranței comprimatelor filmate (în special când sunt sfărâmate) la copii.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Exjade, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Exjade sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Exjade sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Exjade

Exjade a primit o autorizație de punere pe piață validă pe întreg teritoriul UE la 28 august 2006.

Informații suplimentare cu privire la Exjade sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 07-2018.