



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549583/2018  
EMA/H/C/000670

## Exjade (*deferasirox*)

Prehľad o lieku Exjade a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Exjade a na čo sa používa?

Liek Exjade sa používa na liečbu chronického preťaženia železom (nadbytku železa v tele) u týchto skupín pacientov:

- pacienti vo veku od šiestich rokov, ktorí majú beta talasémiu major (**dedičné** krvné ochorenie, pri ktorom pacienti majú nedostatok normálneho hemoglobínu v krvi) a ktorí dostávajú **časté** krvné transfúzie,
- deti vo veku od 2 do 5 rokov, ktoré majú beta talasémiu major a dostávajú **časté** krvné transfúzie, ak sa deferoxamín (**ďalší** liek používaný na liečbu preťaženia železom) **nemôže použiť** alebo je nevhodný,
- pacienti vo veku od 2 rokov, ktorí majú beta talasémiu major, ktorí dostávajú zriedkavé krvné transfúzie, ak sa deferoxamín **nemôže použiť** alebo je nevhodný,
- pacienti vo veku od 2 rokov s inými druhmi anémie (nízkou hladinou hemoglobínu v krvi), ktoré dostávajú krvné transfúzie, ak sa deferoxamín **nemôže použiť** alebo je nevhodný,
- pacienti vo veku od 10 rokov, ktorí majú syndrómy talasémie nezávislej od transfúzie, ak sa deferoxamín **nemôže použiť** alebo je neprimeraný. Syndrómy talasémie nezávislej od transfúzie sú krvné ochorenia podobné beta talasémii major, v prípade ktorých však nie sú potrebné krvné transfúzie. V prípade týchto pacientov je **preťaženie železom** spôsobené nadmernou absorpciou železa z čreva.

Liek Exjade obsahuje účinnú látku deferasirox.

### Ako sa liek Exjade užíva?

Výdaj lieku Exjade je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou chronického preťaženia železom.

Liek je dostupný vo forme filmom obalených tabliet, **dispergovateľných** tabliet a granulátu. Filmom obalené tablety sa **prehítajú** a zapíjajú vodou, **zatiaľ čo dispergovateľné** tablety sa zmiešajú s tekutinou a vytvoria suspenziu, ktorú pacient môže **vypíť**. Granulátom sa posype mäkká potravina, ako je napríklad jogurt alebo jablkové pyrė, ktorú pacient môže **zjesť**.



Začiatková dávka lieku Exjade závisí od telesnej hmotnosti pacienta, od formy používaného lieku, od účelu použitia lieku a od úrovne preťaženia železom. Dávka sa následne podľa potreby upravuje každé 3 až 6 mesiacov podľa hladiny železa v krvi.

Liek Exjade sa užíva jedenkrát denne približne v rovnakom čase. Dispergovateľné tablety sa majú užívať nalačno (najmenej 30 minút pred jedlom) a filmom obalené tablety a granulát sa môžu užiť nalačno alebo s ľahkým jedlom.

Viac informácií o používaní lieku Exjade si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

## Akým spôsobom liek Exjade účinkuje?

Organizmus nedokáže účinne odstraňovať železo a nadbytok železa môže spôsobiť poškodenie. Účinná látka lieku Exjade, deferasirox, je tzv. chelátor železa. Viaže sa na nadbytočné železo v tele, pričom sa vytvorí zlúčenina nazývaná chelát, ktorú je telo schopné vylúčiť, najmä v stolici. To pomáha napraviť preťaženie železom a zabrániť poškodeniu orgánov, napr. srdca alebo pečene, v dôsledku nadbytočného železa.

## Aké prínosy lieku Exjade boli preukázané v štúdiách?

V prípade chronického preťaženia železom zapríčineného krvnými transfúziami sa liek Exjade porovnával v jednej hlavnej štúdii s deferoxamínom u 591 pacientov s beta talasémiou major. Približne polovica pacientov bola vo veku do 16 rokov a 56 pacientov bolo mladších ako 6 rokov. Účinnosť sa určila na základe hladiny železa v pečeni pred liečbou a po jednom roku liečby. Hladina železa sa uspokojivo znížila u 53 % pacientov užívajúcich liek Exjade v porovnaní so 66 % pacientov užívajúcimi deferoxamín. Liek Exjade celkovo nebol taký účinný ako porovnávací liek. Pokiaľ však ide o 381 pacientov, ktorí mali na začiatku štúdie mimoriadne vysokú hladinu železa a ktorí dostávali porovnateľné množstvá lieku Exjade a deferoxamínu, obidva lieky boli rovnako účinné.

Ďalšia štúdia zahŕňala 184 pacientov, ktorí nemohli byť liečení deferoxamínom vrátane pacientov s beta talasémiou major a inými druhmi anémie. Viac ako u polovice týchto pacientov sa hladina železa uspokojivo znížila po roku liečby liekom Exjade vrátane pacientov vo veku 2 až 5 rokov.

V ďalšej hlavnej štúdii zahŕňajúcej 166 pacientov vo veku od 10 rokov (vrátane 21 pacientov vo veku od 10 do 18 rokov) so syndrómom talasémie nezávislej od transfúzie a s preťažením železom bol liek Exjade účinnejší než placebo (zdanlivý liek). Hlavným meradlom účinnosti bola zmena hladiny železa v pečeni po 12 mesiacoch liečby. U pacientov liečených liekom Exjade sa hladina železa v pečeni znížila priemerne o 3,8 mg na gram pečene v porovnaní s priemerným zvýšením o 0,4 mg na gram pečene u pacientov liečených placebom.

## Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Exjade?

Najčastejší vedľajší účinok lieku Exjade (ktorý môže postihnúť viac ako 1 osobu z 10) je zvýšená hladina kreatinínu (ukazovateľa obličkových problémov) v krvi. Medzi ďalšie časté vedľajšie účinky (vyskytujú sa až u 1 pacienta z 10) patrí nauzea (pocit nevoľnosti), vracanie, hnačka, tráviace ťažkosti, abdominálna bolesť (bolesť brucha), zápcha, bolesť hlavy, vyrážka, svrbenie, krvné testy dokazujúce zvýšenú hladinu transamináz (čo môže naznačovať poškodenie pečene) a bielkovina v moči. Zoznam všetkých vedľajších účinkov lieku Exjade sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Pri liečbe liekom Exjade boli hlásené prípady zlyhania obličiek a pečene. Pred začatím liečby a v pravidelných intervaloch počas liečby liekom testy funkcie obličiek a pečene. V závislosti od výsledkov testov možno bude potrebné liečbu prerušiť alebo zastaviť.

Pri liečbe liekom Exjade boli hlásené prípady metabolickej acidózy (ak telo tvorí väčšie množstvo kyseliny ako je množstvo, ktorého sa dokáže zbaviť), zväčša u pacientov s poruchou funkcie obličiek. U pacientov, u ktorých sa vyskytne toto ochorenie, treba zvážiť prerušenie liečby liekom Exjade.

Liek Exjade sa nesmie používať u osôb, u ktorých klírens kreatinínu je menej ako 60 ml za minútu. Nesmie používať v kombinácii s inými chelátormi železa. Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo** bol liek Exjade povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Exjade sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

## Aké opatrenia sa prijímajú na **bezpečné** a **účinné** používanie lieku Exjade?

Spoločnosť, ktorá liek Exjade uvádza na trh, musí pre zdravotníckych pracovníkov pripraviť balíček so vzdelávacími materiálmi. Cieľom tohto balíčka je informovať o odporúčaníach pre liečbu liekom Exjade vrátane výberu správneho dávkovania, o tom, že dávkovanie dispergovateľných tabliet je iné ako dávkovanie filmom obalených tabliet alebo granulátu, a o potrebe sledovať zdravotný stav pacienta, najmä funkciu obličiek. Spoločnosť takisto pripraví podobný balíček pre pacientov.

Spoločnosť tiež uskutoční tieto štúdie: štúdiu o dlhodobých účinkoch filmom obalených tabliet a dispergovateľných tabliet u detí starších ako 10 rokov s talasémiou nezávislou od transfúzie a štúdiu na posúdenie bezpečnosti filmom obalených tabliet (najmä, ak sú rozdrvené) u detí.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Exjade boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Exjade sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Exjade sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie** informácie o lieku Exjade

Lieku Exjade bolo dňa 28. augusta 2006 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Exjade sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 07-2018