



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549585/2018
EMA/H/C/000670

Exjade (*deferasirox*)

Sammanfattning av Exjade och varför det är godkänt inom EU

Vad är Exjade och vad används det för?

Exjade är ett läkemedel som används för att behandla kroniskt järnöverskott (överskott på järn i kroppen) hos följande patientgrupper:

- Patienter från 6 års ålder som har betatalassemi major (en ärftlig blodsjukdom där patienterna har för lite normalt hemoglobin i blodet) och får täta blodtransfusioner.
- Barn i åldern 2–5 år som har betatalassemi major och får täta blodtransfusioner, när deferoxamin (ett annat läkemedel som används för att behandla järnöverskott) inte kan ges eller inte räcker som behandling.
- Patienter från 2 års ålder som har betatalassemi major och får få blodtransfusioner, när deferoxamin inte kan ges eller inte räcker som behandling.
- Patienter från 2 års ålder som har olika typer av anemier (låga hemoglobinnivåer i blodet) och får blodtransfusioner, när deferoxamin inte kan ges eller inte räcker som behandling.
- Patienter från 10 års ålder med icke-transfusionsberoende talassemisyndrom, när deferoxamin inte kan ges eller inte räcker som behandling. Icke-transfusionsberoende talassemisyndrom är blodsjukdomar som liknar betatalassemi major men som inte kräver blodtransfusioner. Hos dessa patienter beror järnöverskottet på upptag av stora mängder järn från tarmen.

Exjade innehåller den aktiva substansen deferasirox.

Hur används Exjade?

Exjade är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av behandling av kroniskt järnöverskott.

Det finns som filmdragerade tabletter, dispergerbara tabletter och granulat. De filmdragerade tabletterna ska sväljas med vatten medan de dispergerbara tabletterna ska blandas med en vätska till en suspension som patienten kan dricka. Granulaten strös över uppmjukad mat såsom yoghurt eller äppelpuré som patienten kan äta.



Startdosen med Exjade beror på patientens kroppsvikt, vilken form av läkemedel som tas, vad läkemedlet används till och hur stort järnöverskottet är. Dosen justeras sedan vid behov, var tredje till sjätte månad, beroende på järnnivåerna i blodet.

Exjade tas en gång om dagen vid ungefär samma tidpunkt. De dispergerbara tablettorna bör tas på tom mage (minst 30 minuter före måltid). De filmdragerade tablettorna och granulaten kan tas på tom mage eller med en lätt måltid.

För mer information om hur du använder Exjade, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Exjade?

Kroppen kan inte göra sig av med järn effektivt och ett överskott på järn kan orsaka skador. Den aktiva substansen i Exjade, deferasirox, är en järnkelatkomplexbildare. Den binder till överskottsjärnet i kroppen och bildar en förening, ett s.k. kelatkomplex, som kroppen kan göra sig av med, främst i avföringen. Detta hjälper till att korrigera järnöverskottet och förhindrar skador på organen, till exempel hjärta och lever, till följd av överskottet på järn.

Vilken nytta med Exjade har visats i studierna?

När det gäller kroniskt järnöverskott på grund av blodtransfusioner jämfördes Exjade med deferoxamin i en huvudstudie på 591 patienter med betatalassemi major. Omkring hälften av patienterna var under 16 år och 56 patienter var yngre än 6 år. Effekten fastställdes utifrån järnnivåerna i levern före och efter ett års behandling. Järnnivån sänktes tillräckligt väl hos 53 procent av patienterna som fick Exjade, jämfört med 66 procent av patienterna som fick deferoxamin. Exjade var totalt sett inte lika effektivt som jämförelseläkemedlet. Men hos de 381 patienter som hade särskilt höga järnnivåer vid studiens början och som fick jämförbara mängder Exjade och deferoxamin, var de två läkemedlen lika effektiva.

I en annan studie ingick 184 patienter som inte kunde behandlas med deferoxamin, inklusive patienter med betatalassemi major och andra typer av anemi. Hos över hälften av dessa patienter sänktes järnnivån tillräckligt väl efter ett års behandling med Exjade, även hos patienter som var mellan 2 och 5 år gamla.

I ytterligare en huvudstudie på 166 patienter i åldern 10 år och uppåt (inklusive 21 patienter mellan 10 och 18 år) med icke-transfusionsberoende talassemisyndrom och järnöverskott var Exjade effektivare än placebo (overksam behandling). Huvudeffektmetret var förändringen av järnnivåerna i levern efter 12 månaders behandling. Hos patienterna som fick Exjade sjönk järnnivåerna med i genomsnitt 3,8 mg per gram lever jämfört med en genomsnittlig minskning med 0,4 mg per gram lever hos patienterna som fick placebo.

Vilka är riskerna med Exjade?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Exjade (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är förhöjda nivåer av kreatinin i blodet (ett tecken på njurproblem). Andra vanliga biverkningar (kan uppträda hos upp till 1 av 10 patienter) är illamående, kräkningar, diarré, dålig matsmältning, buksmärta (magont), förstoppning, huvudvärk, hudutslag, klåda, blodprov som visar förhöjda transaminaser (vilket kan tyda på leverskada) och protein i urinen. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Exjade finns i bipacksedeln.

Det har rapporterats fall av njur- och leversvikt med Exjade. Njur- och levertester bör utföras innan behandlingen med Exjade inleds och med jämna mellanrum under behandlingens gång. Beroende på testresultaten kan behandlingen behöva avbrytas eller stoppas helt.

Fall av metabolisk acidosis (när kroppen producerar mer syra än den gör sig av med) har rapporterats med Exjade, främst hos patienter med nedsatt njurfunktion. Om patienten får detta tillstånd bör det övervägas om behandlingen med Exjade ska avbrytas.

Exjade får inte ges till personer vars kreatininclearance är mindre än 60 ml per minut. Det får inte ges tillsammans med andra järnkelatkomplexbildare. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Exjade godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Exjade är större än riskerna och att det kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Exjade?

Företaget som marknadsför Exjade måste ta fram ett utbildningspaket för hälso- och sjukvårdspersonal. Syftet är att informera om behandlingsrekommendationer för Exjade, bland annat med information om hur rätt dos fastställs, att doserna är annorlunda för dispergerbara tabletter jämfört med filmdragerade tabletter eller granulat, och att patientens hälsa måste övervakas och då särskilt njurfunktionen. Företaget kommer även att ta fram ett motsvarande paket för patienter.

Företaget kommer dessutom att utföra följande studier: en studie av de långsiktiga effekterna av filmdragerade tabletter och dispergerbara tabletter hos barn över 10 år med icke-transfusionsberoende talassemisyndrom, samt en studie för att bedöma säkerheten hos de filmdragerade tabletterna (särskilt när de krossas) för barn.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Exjade har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Exjade kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Exjade utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder för att skydda patienterna vidtas.

Mer information om Exjade

Den 28 augusti 2006 beviljades Exjade ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Exjade finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 07-2018.