



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549619/2019
EMA/H/C/002393

Defitelio (*defibrotida*)

Información general sobre Defitelio y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Defitelio y para qué se utiliza?

Defitelio es un medicamento que se usa para tratar la enfermedad venoclusiva (EVO) grave en pacientes sometidos a un trasplante de células madre hematopoyéticas (de la sangre). La EVO es un trastorno en el que se obstruyen las venas del hígado, que deja de funcionar correctamente. Defitelio se utiliza en adultos y en niños a partir de un mes de edad.

Defitelio contiene el principio activo defibrotida.

La EVO es «rara», y Defitelio fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 29 de julio de 2004. Puede encontrar más información acerca de la designación como medicamento huérfano en: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

¿Cómo se usa Defitelio?

Defitelio solo se podrá dispensar con receta médica y deberá ser prescrito y administrado por un médico con experiencia en el tratamiento de las complicaciones del trasplante de células madre de la sangre. Se administra mediante perfusión intravenosa durante 2 y 4 horas al día. La dosis se calcula en función del peso del paciente. El tratamiento debe durar al menos 3 semanas y continuar hasta que el paciente deje de tener síntomas. Para mayor información sobre el uso de Defitelio, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Defitelio?

La EVO suele ser una complicación derivada de un tratamiento, denominado «quimioterapia mieloablativa», que se administra a los pacientes antes de recibir un trasplante de células madre de la sangre. La quimioterapia mieloablativa se utiliza para eliminar las células de la médula ósea del paciente antes de que reciba las células madre sanas. Los medicamentos utilizados para este

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



tratamiento pueden dañar el revestimiento de los vasos sanguíneos del hígado, lo que provoca la formación de coágulos y la obstrucción de los vasos características de la EVO.

El principio activo de Defitelio, la defibrotida, actúa aumentando la disolución de los coágulos sanguíneos. Además, la defibrotida puede proteger las células que recubren los vasos sanguíneos.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Defitelio en los estudios realizados?

La EVO grave tiene un índice de mortalidad elevado del 75 % o superior. En un estudio principal en el que participaron 102 pacientes con EVO grave después de un trasplante de células madre hematopoyéticas, Defitelio se comparó con los registros antiguos de pacientes que habían recibido el tratamiento sintomático de referencia. Se demostró que Defitelio redujo la tasa de mortalidad al 62 % a los 100 días del trasplante y que el 24 % de los pacientes no presentaron síntomas de EVO grave a los 100 días.

Los beneficios de Defitelio se observaron también en los datos extraídos de un registro de pacientes de Estados Unidos, que demostraron que los pacientes con EVO grave después de un trasplante de células madre hematopoyéticas que recibieron Defitelio además del tratamiento de referencia presentaron mejores resultados que los que recibieron el tratamiento de referencia solo, incluida una mayor tasa de supervivencia a los 100 días (39 % frente al 31 %) y una mayor proporción de pacientes con resolución de la EVO (51 % frente al 29 %).

¿Cuáles son los riesgos asociados a Defitelio?

Los efectos adversos más frecuentes de Defitelio son hipotensión (presión arterial baja) y hemorragia. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados con Defitelio, consultar el prospecto.

Defitelio no debe utilizarse junto con otros medicamentos que disuelvan los coágulos de sangre. La lista completa de restricciones se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Defitelio en la UE?

La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Defitelio son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE. Se ha constatado que Defitelio mejora la supervivencia de los pacientes con EVO grave. Aunque no fue posible realizar un estudio en el que se comparase directamente Defitelio con un placebo (un tratamiento ficticio), la empresa había proporcionado datos suficientes para demostrar que los pacientes tratados con el medicamento tenían mayores probabilidades de supervivencia. Los efectos adversos observados, como la hemorragia, se consideraron controlables y no fue posible determinar con certeza si fueron causados por Defitelio.

Defitelio se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Defitelio debido a la rareza de la enfermedad. La Agencia revisará cada año la información nueva que pueda estar disponible y esta información general se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Defitelio?

Dado que Defitelio ha sido autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que comercializa el medicamento deberá presentar los resultados de un estudio en curso sobre la seguridad del medicamento cuando se utiliza para la prevención de la EVO en adultos y niños sometidos a un trasplante de células madre hematopoyéticas. La empresa también revisará las investigaciones

publicadas y analizará los datos sobre los resultados del trasplante en pacientes con EVO tratados y no tratados con Defitelio.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Defitelio?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Defitelio se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Defitelio se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados de Defitelio son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Defitelio

Defitelio recibió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea el 18 de octubre de 2013.

Puede encontrar información adicional sobre Defitelio en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Fecha de la última actualización de este resumen: 10-2019.