



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (defibrotiid)

Ülevaade ravimist Defitelio ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Defitelio ja milleks seda kasutatakse?

Defitelio on ravim, mida kasutatakse raske veno-oklusiivhaiguse raviks patsientidel, kellele siiratakse hematopoeetilisi (vereloome) tüvirakke. Veno-oklusiivhaigus on seisund, mille korral maksaveenid ummistuvad, mis takistab normaalset maksatalitlust. Defiteliot kasutatakse täiskasvanutel ja vähemalt 1 kuu vanustel lastel.

Defitelio sisaldab toimeainena defibrotiidi.

Veno-oklusiivhaigus esineb harva ja Defitelio nimetati 29. juulil 2004 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kuidas Defiteliot kasutatakse?

Defitelio on retseptiravim. Defiteliot tohib määrata ja manustada vereloome tüvirakkude siirdamise tüsistuste ravis kogenud arst. Ravimit manustatakse 2 tundi kestva veeniinfusioonina 4 korda ööpäevas. Annus sõltub patsiendi kehamassist. Ravi peab kestma vähemalt 3 nädalat ja jätkuma patsiendi sümptomite taandumiseni. Lisateavet Defitelio kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Defitelio toimib?

Veno-oklusiivhaigus tekib tavaliselt enne vereloome tüvirakkude siirdamist tehtava müeloablatiivse keemiaravi tüsistusena. Müeloablatiivse keemiaraviga hävitatakse patsiendi luuüdist rakud enne tervete tüvirakkude siirdamist. Selles ravis kasutatavad ravimid võivad kahjustada maksaveresoonte endoteeli, põhjustades veno-oklusiivhaigusele iseloomulikke trombe ja veresoonte ummistumist.

Defitelio toimeaine defibrotiid soodustab trombide lagunemist. Peale selle võib defibrotiid kaitsta veresoonte endoteelirakke.

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



Milles seisneb uuringute põhjal Defitelio kasulikkus?

Raske veno-oklusiivhaiguse korral on suremus suur – 75% või üle selle. Ühes põhiuuringus, milles osales 102 patsienti, kellel oli pärast vereloome tüvirakkude siirdamist tekkinud raske veno-oklusiivhaigus, võrreldi Defitelio andmeid varasemate andmetega patsientidelt, kes olid saanud toetavat standardravi. Defitelio kasutamisel vähenes suremus 100. päeval pärast siirdamist 62%-le ning 24%-l patsientidest puudusid 100 päeva pärast raske veno-oklusiivhaiguse sümptomid.

Defitelio kasulikkus ilmnes ka ühe USA patsiendiregistri andmetest (standardmeetodil kogutud patsiendiandmed): pärast vereloome tüvirakkude siirdamist tekkinud raske veno-oklusiivhaigusega patsientidel, kes said Defiteliot koos standardraviga, olid paremad ravitulemused kui ainult standardravi saanud patsientidel, sealhulgas oli parem 100. päeva elumus (vastavalt 39% vs. 31%) ja taandunud veno-oklusiivhaigusega patsientide osakaal oli suurem (vastavalt 51% vs. 29%).

Mis riskid Defitelioga kaasnevad?

Defitelio kõige sagedamad kõrvalnähud on hüpotensioon (madal vererõhk) ja verejooks. Defitelio kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Defiteliot ei tohi kasutada koos teiste trombe lagundavate ravimitega. Piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Defitelio ELis heaks kiideti?

Euroopa Raviamet otsustas, et Defitelio kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita. Defitelio parandas raske veno-oklusiivhaigusega patsientide elumust. Kuigi ei olnud võimalik teha Defitelio ja platseebo (näiv ravim) otsest võrdlusuuringut, esitas ettevõtte piisavad andmed, mis tõendasid, et ravim parandas patsientide elumust. Täheldatud kõrvalnähte (nt verejooksu) peeti hallatavaks. Ei olnud võimalik kindlalt määrata, kas neid põhjustas Defitelio.

Defitelio on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Defitelio kohta täielikku teavet. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

Mis teavet Defitelio kohta veel oodatakse?

Et Defitelio on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel, peab ravimi turustaja esitama tulemused toimuvast uuringust, milles hinnatakse ravimi ohutust veno-oklusiivhaiguse ennetamisel täiskasvanutel ja lastel, kellele siiratakse vereloome tüvirakke. Samuti analüüsib turustaja nende veno-oklusiivhaigusega patsientide siirdamistulemuste andmeid, keda on ja keda ei ole Defitelioga ravitud.

Mis meetmed võetakse, et tagada Defitelio ohutu ja efektiivne kasutamine?

Defitelio ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Defitelio kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Defitelio kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Defitelio kohta

Defitelio on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 18. oktoobril 2013.

Lisateave Defitelio kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 10.2019