



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotidi*)

Yleistiedot Defiteliosta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Defitelio on ja mihin sitä käytetään?

Defitelio on lääke, jolla hoidetaan hematopoieettisen (veren) kantasolusiirron saaneiden potilaiden vaikeaa veno-okklusiivista tautia (VOD). Veno-okklusiivisessa taudissa maksan verisuonet tukkeutuvat, jolloin maksa ei enää toimi kunnolla. Defiteliolla hoidetaan aikuisia ja vähintään yhden kuukauden ikäisiä lapsia.

Defitelion vaikuttava aine on defibrotidi.

Veno-okklusiivinen tauti on harvinainen; Defitelio nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 29. heinäkuuta 2004. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Miten Defiteliota käytetään?

Defiteliota saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Sitä saa määrätä ja antaa vain lääkäri, jolla on kokemusta veren kantasolusiirron komplikaatioiden hoidosta. Se annetaan kaksi tuntia kestäväenä infuusiona (tiputuksena) laskimoon neljä kertaa vuorokaudessa. Annos määräytyy potilaan painon mukaan. Hoidon tulee kestää vähintään kolme viikkoa, ja sitä tulee jatkaa siihen saakka, kunnes potilaalla ei enää ole oireita. Lisätietoja Defitelion käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Defitelio vaikuttaa?

Veno-okklusiivinen tauti on yleensä myeloablatiivisen kemoterapian komplikaatio. Tätä hoitoa annetaan potilaille ennen veren kantasolusiirtoa. Myeloablatiivisella kemoterapialla potilaan luuytimeistä poistetaan solut, ennen kuin hän saa terveitä kantasoluja. Tässä hoidossa käytettävät lääkkeet voivat vaurioittaa maksan verisuonten sisäkalvoa. Tämä johtaa hyyttymien muodostumiseen ja verisuonten tukkeutumiseen, mikä on tyypillistä veno-okklusiivisessa taudissa.

Defitelion vaikuttava aine defibrotidi vaikuttaa lisäämällä veressä olevien hyyttymien hajoamista. Lisäksi defibrotidi voi suojella verisuonten sisäkalvon soluja.

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



Mitä hyötyä Defiteliosta on havaittu tutkimuksissa?

Vaikeassa veno-okklusiivisessa taudissa kuolleisuus on suuri, vähintään 75 prosenttia. Yhdessä päätutkimuksessa, jossa oli mukana 102 potilasta, jotka olivat saaneet vaikean veno-okklusiivisen taudin kantasolusiirron jälkeen, Defiteliota verrattiin aiempiin rekistereihin tavanomaista tukihoitoa saaneista potilaista. Defitelio vähensi kuolleisuutta siten, että se oli 62 prosenttia 100 päivän kuluttua kantasolusiirrosta. 24 prosentilla potilaista ei ollut 100 päivän kuluttua lainkaan vaikean veno-okklusiivisen taudin oireita.

Defitelion hyöty todettiin myös yhdysvaltalaisen potilasrekisterin tiedoissa (tiedot potilaista kerättiin vakiotavalla): kun kantasolusiirron jälkeen vaikean veno-okklusiivisen taudin saaneita potilaita hoidettiin Defiteliolla ja vakiohoidolla, hoitotulokset olivat paremmat kuin pelkästään vakiohoitoa saaneilla potilailla. Myös eloonjääminen sadan päivän kohdalla oli parempi (39 % vs. 31 %), ja useampien potilaiden veno-okklusiivinen tauti parani (51 % vs. 29 %).

Mitä riskejä Defitelioon liittyy?

Defitelion yleisimmät haittavaikutukset ovat hypotensio (alhainen verenpaine) ja verenvuoto. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Defitelion haittavaikutuksista.

Defiteliota ei saa käyttää yhdessä muiden verihyytymiä hajottavien lääkkeiden kanssa. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Defitelio on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Defitelion hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa. Defitelion oli osoitettu lisäävän vaikeaa veno-okklusiivista tautia sairastavien potilaiden eloonjäämistä. Vaikka ei ollut mahdollista toteuttaa tutkimusta, jossa Defiteliota olisi verrattu suoraan lumelääkkeeseen, yhtiö oli toimittanut riittävästi tietoa sen osoittamiseksi, että Defiteliolla hoidettujen potilaiden eloonjäämismahdollisuudet paranivat. Havaittujen haittavaikutusten, kuten verenvuodon, katsottiin olevan hallittavissa, eikä ollut mahdollista selvittää varmuudella, olivatko ne Defitelion aiheuttamia.

Defitelio on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Defiteliosta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Defiteliosta odotetaan vielä saatavan?

Koska Defiteliolle on annettu myyntilupa poikkeusolosuhteissa, Defiteliota markkinoivan yhtiön on toimitettava tulokset käynnissä olevasta tutkimuksesta, jossa tarkastellaan lääkevalmisteen turvallisuutta, kun sitä käytetään veno-okklusiivisen taudin ehkäisemiseen aikuisilla ja lapsilla, joille tehdään hematopoieettinen kantasolujen siirto. Lisäksi yhtiö analysoi tiedot kantasolujen siirron tuloksesta veno-okklusiivista tautia sairastavilla potilailla, jotka ovat saaneet Defiteliota, ja potilailla, jotka eivät ole saaneet Defiteliota.

Miten voidaan varmistaa Defitelion turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Defitelion käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Defitelion käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Defiteliosta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Defiteliosta

Defitelio sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 18. lokakuuta 2013.

Lisää tietoa Defiteliosta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://www.ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 10-2019.