



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/117244/2023
EMA/H/C/004751

Trecondi (*treosulfaani*)

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

Mitä Trecondi on ja mihin sitä käytetään?

Trecondi on lääke, jota annetaan potilaille, ennen kuin heille tehdään luuydinsiirto, jossa käytetään luovuttajalta saatuja kantasoluja. Tästä käytetään nimitystä ”allogeeninen hematopoieettisten kantasolujen siirto”. Sitä käytetään valmistelevana hoitona, jossa potilaan luuydin poistetaan ja tehdään tilaa siirretyille luuydinsoluille, jotka voivat sitten tuottaa terveitä verisoluja.

Trecondia käytetään yhdessä fludarabiini-nimisen lääkkeen kanssa aikuisilla ja vähintään kuukauden ikäisillä lapsilla, joilla on verisyöpä tai muita vakavia sairauksia, jotka edellyttävät luuydinsiirtoa.

Trecondin vaikuttava aine on treosulfaani.

Hematopoieettisten kantasolujen siirto on harvinainen toimenpide, ja Trecondi nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 23. helmikuuta 2004. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy osoitteesta ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu304186

Miten Trecondia käytetään?

Trecondia annetaan kaksi tuntia kestäväenä infuusiona (tiputus laskimoon). Potilas saa Trecondia kerran päivässä kolmen vuorokauden ajan ennen luuydinsiirtoa. Fludarabiinia annetaan kerran päivässä viiden vuorokauden ajan ennen luuydinsiirtoa.

Trecondia saa vain lääkärin määräyksestä, ja se on annettava sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta valmistelevalle hoidosta, jota annetaan ennen allogeenista hematopoieettisten kantasolujen siirtoa.

Lisätietoja Trecondin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Trecondi vaikuttaa?

Trecondin vaikuttava aine, treosulfaani, on alkyloivien aineiden ryhmään kuuluva lääke. Elimistössä treosulfaani muuttuu epoksideiksi kutsutuiksi yhdisteiksi, jotka tappavat erityisesti nopeasti kehittyviä

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

soluja, kuten luuydinsoluja. Epoksidit vaikuttavat kiinnittymällä solujen DNA:han niiden jakautumisen aikana. Näin Trecondi voi tappaa potilaan luuytimessä olevia soluja ja tehdä tilaa luovuttajan uusille soluille.

Mitä hyötyä Trecondista on havaittu tutkimuksissa?

Kaksi päätutkimusta osoitti, että Trecondi on vähintään yhtä tehokas kuin busulfaani, toinen lääke, jota käytetään potilaiden valmistelussa hematopoieettisten kantasolujen siirtoon.

Toiseen tutkimuksesta osallistui 570 aikuispotilasta, joilla oli akuutti myeloinen leukemia (eräs verisyöpä) tai myelodysplastinen oireyhtymä (sairaus, jossa syntyy suuria määriä epänormaaleja verisoluja). Tutkimuksessa 64 prosentilla potilaista, jotka saivat Trecondia (fludarabiinin kanssa), siirto onnistui, ja kahden vuoden jälkeen he olivat elossa ja sairaus oli parantunut. Vastaava osuus busulfaania saaneista (fludarabiinin kanssa) oli 51 prosenttia.

Toisessa tutkimuksessa, johon osallistui 70 verisyöpää sairastavaa lasta, 99 prosenttia Trecondia (fludarabiinin kanssa) saaneista lapsista oli elossa 3 kuukauden kuluttua kantasolusiirrosta. 91 prosenttia lapsista oli elossa vuoden kuluttua ja 84 prosenttia kolmen vuoden kuluttua.

Lisätutkimuksessa, johon osallistui 101 lasta, joilla oli muita luuydinsiirtoa edellyttäviä vakavia sairauksia, yksikään Trecondia saaneista 51 lapsesta ei ollut kuollut luuydinsiirtoon liittyvistä syistä kolmen kuukauden kuluessa toimenpiteestä, kun taas busulfaania (fludarabiinin kanssa) saaneista 50 lapsesta viisi oli kuollut. Vuoden kuluttua luuydinsiirrosta 96 prosenttia Trecondia saaneista lapsista ja 88 prosenttia busulfaania saaneista lapsista oli elossa.

Mitä riskejä Trecondiin liittyy?

Trecondin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) aikuisilla ja lapsilla ovat infektiot, pahoinvointi, stomatiitti (suun limakalvon tulehdus), oksentelu ja ripuli. Väsymystä, kuumeista neutropeniaa (valkosolujen niukkuus, johon liittyy kuumetta) ja veren korkeaa bilirubiinin määrää (punasolujen hajoamistuote) havaitaan myös useammalla kuin yhdellä aikuisella kymmenestä. Maksatoksisuutta ja tiettyjen maksaentsyymien pitoisuuden nousua veressä, vatsakipua, kutinaa ja kuumetta voi myös ilmetä useammalla kuin yhdellä lapsella kymmenestä.

Yleisiä haittavaikutuksia aikuisilla (useammalla kuin yhdellä potilaalla sadasta) ovat vatsakipu, ruokahalun heikentyminen, ihottuma, kutina, hiustenlähtö, kuume, ödeema (nesteiden kertymisestä johtuva turvotus) sekä tiettyjen maksaentsyymien pitoisuuden nousu veressä. Lapsilla ilmeneviä yleisiä haittavaikutuksia (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle sadasta) ovat väsymys, kuumeinen neutropenia, ihottuma, hiustenlähtö ja veren korkea bilirubiinipitoisuus.

Trecondia ei saa käyttää potilailla, joilla on aktiivinen infektio, joka ei ole hallinnassa, vaikeita sydän-, keuhko-, maksa- tai munuaisongelmia, Fanconin anemia tai muita DNA-vaurioiden korjautumisen häiriöitä. Raskaana olevat naiset eivät saa käyttää Trecondia, eikä Trecondia saaville potilaille saa antaa eläviä rokotteita.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Trecondi on hyväksytty EU:ssa?

Trecondi on tehokas aikuisten ja lasten valmistelevana hoitona hematopoieettista kantasolusiirtoa varten.

Trecondin haittavaikutukset ovat hallittavissa ja verrattavissa busulfaanin havaittuihin haittavaikutuksiin. Busulfaanin tavoin Trecondin katsotaan olevan vähäisen intensiteetin valmisteleva hoito. Tämä tarkoittaa, että se on vähemmän myrkyllinen kuin tavanomaiset valmistelevat hoidot, jotka perustuvat sädehoidon kanssa tai ilman sitä annettavaan solunsalpaajahoittoon.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Trecondin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Trecondin turvallinen ja tehokas käyttö?

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

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

Muuta tietoa Trecondista

Trecondi sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 20. kesäkuuta 2019.

Lisää tietoa Trecondista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/trecondi.

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 02-2023.