



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotid*)

Pregled informacija o lijeku Defitelio i zašto je odobren u EU-u

Što je Defitelio i za što se koristi?

Lijek Defitelio upotrebljava se za liječenje teške vensko-okluzivne bolesti u bolesnika koji će ići na transplantaciju hematopoetskih (krvotvornih) matičnih stanica. Vensko-okluzivna bolest je stanje začepljenja vena u jetri, uslijed čega jetra ne radi pravilno. Defitelio se primjenjuje u odraslih i djece u dobi od mjesec dana i starijih.

Defitelio sadržava djelatnu tvar defibrotid.

Vensko-okluzivna bolest je rijetka bolest, a lijek Defitelio dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 29. srpnja 2004. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kako se Defitelio primjenjuje?

Defitelio se izdaje samo na recept te ga mora propisati i davati liječnik s iskustvom u liječenju komplikacija povezanih s transplantacijom krvotvornih matičnih stanica. Primjenjuje se intravenskom infuzijom (ukapavanjem) u trajanju od 2 sata 4 puta dnevno. Doza ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Liječenje treba trajati najmanje 3 tjedna i nastaviti se sve dok se simptomi u bolesnika ne povuku. Za više informacija o primjeni lijeka Defitelio pročitajte u uputi o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Defitelio?

Vensko-okluzivna bolest obično je komplikacija povezana s liječenjem poznatim kao „mijeloablativna kemoterapija” koja se daje prije transplantacije krvotvornih matičnih stanica. Mijeloablativna kemoterapija primjenjuje se kako bi se iz koštane srži bolesnika uklonile stanice prije primanja zdravih matičnih stanica. Lijekovi koji se primjenjuju u tom liječenju mogu oštetiti unutarnju prevlaku krvnih žila u jetri, što dovodi do stvaranja ugrušaka i opstrukcije krvnih žila kakva se opaža kod vensko-okluzivne bolesti.

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



Djelatna tvar u lijeku Defitelio, defibrotid, djeluje tako što povećava razgradnju ugrušaka u krvi. Uz to, defibrotid može zaštititi stanice u unutarnjoj prevlaci krvnih žila.

Koje su koristi od lijeka Defitelio utvrđene u ispitivanjima?

Teška vensko-okluzivna bolest ima visoku stopu smrtnosti od 75 % ili više. U jednom glavnom ispitivanju u kojem su sudjelovala 102 bolesnika s teškom vensko-okluzivnom bolešću nakon transplantacije krvotvornih matičnih stanica, Defitelio je uspoređen s prethodnim rezultatima bolesnika koji su liječeni standardnom potpornom skrbi. Defitelio je 100 dana nakon transplantacije smanjio stopu smrtnosti na 62 %, dok 24 % bolesnika nisu imali simptome teške vensko-okluzivne bolesti nakon 100 dana.

Koristi od lijeka Defitelio opažene su i na temelju podataka iz registra bolesnika u SAD-u (informacije o bolesnicima prikupljene na uobičajeni način) u kojima su bolesnici s teškom vensko-okluzivnom bolešću, koji su nakon transplantacije krvotvornih matičnih stanica primali lijek Defitelio uz standardnu skrb, imali bolje rezultate od bolesnika koji su primali samo standardnu skrb, uključujući višu 100-dnevnu stopu preživljenja (39 % u odnosu na 31 %) i veći udio bolesnika u kojih se vensko-okluzivna bolest povukla (51 % u odnosu na 29 %).

Koji su rizici povezani s lijekom Defitelio?

Najčešće nuspojave lijeka Defitelio bile su hipotenzija (nizak krvni tlak) i krvarenje. Potpuni popis nuspojava lijeka Defitelio potražite u uputi o lijeku.

Defitelio se ne smije primjenjivati zajedno s drugim lijekovima koji razgrađuju krvne ugruške. Potpuni popis ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Defitelio odobren u EU-u?

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Defitelio nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u Europskoj uniji. Utvrđeno je da se lijekom Defitelio poboljšava preživljenje bolesnika s teškom vensko-okluzivnom bolešću. Iako nije bilo moguće provesti ispitivanje u kojem bi se lijek Defitelio izravno usporedio s placebo (prividno liječenje), tvrtka je dostavila dovoljno podataka koji pokazuju da su se u bolesnika liječenih ovim lijekom poboljšali izgledi za preživljenje. Smatra se da se primijećene nuspojave, kao što je krvarenje, mogu kontrolirati, a nije bilo moguće sa sigurnošću odrediti jesu li one bile prouzročene lijekom Defitelio.

Defitelio je odobren u „iznimnim okolnostima“. Razlog tome je nemogućnost dobivanja potpunih podataka o lijeku Defitelio zbog male učestalosti bolesti. Svake godine Agencija procjenjuje sve nove dostupne podatke te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koji se još podatci očekuju o lijeku Defitelio?

Budući da je lijek Defitelio odobren u iznimnim okolnostima, tvrtka koja lijek stavlja na tržište obvezna je omogućiti rezultate ispitivanja koje se trenutačno provodi o sigurnosti lijeka kad se primjenjuje za sprječavanje vensko-okluzivne bolesti u odraslih i djece koji će ići na transplantaciju hematopoetskih matičnih stanica. Tvrtka će također pregledati podatke o analizi ishoda transplantacije u bolesnika s vensko-okluzivnom bolesti koji su liječeni i koji nisu liječeni lijekom Defitelio.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Defitelio?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Defitelio nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Defitelio kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Defitelio pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Defitelio

Lijek Defitelio dobio je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 18. listopada 2013.

Više informacija o lijeku Defitelio dostupno je na internetskim stranicama Agencije:
ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 10. 2019.