



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotid*)

A Defitelio-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Defitelio és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Defitelio a hemopoetikus (vér-) őssejt-transzplantációban részesülő betegeknél kialakuló súlyos venoocclusiv betegség (VOD) kezelésére alkalmazott gyógyszer. A VOD egy olyan állapot, amelynek során a máj vénái elzáródnak és ez a máj működési zavarához vezet. A Defitelio felnőtteknek és legalább egy hónapos gyermekeknek adható.

A Defitelio hatóanyaga a defibrotid.

Mivel a VOD „ritkának” minősül, ezért a Defitelio-t 2004. július 29-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Hogyan kell alkalmazni a Defitelio-t?

A Defitelio csak receptre kapható gyógyszer, amelyet a vér-őssejt transzplantációval járó szövődmények kezelésében tapasztalt orvosnak kell felírnia és beadnia. Naponta négyszer kell 2 óra alatt vénás infúzióban beadni. Az adag a beteg testsúlyától függ. A kezelést minimum 3 hétig kell végezni, és addig kell folytatni, amíg a beteg tünetei meg nem szűnnek. A Defitelio alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Defitelio?

A VOD általában a „myeloablatív kemoterápia” szövődménye, amelyet vér-őssejt transzplantáció előtt adnak. A myeloablatív kemoterápia eltávolítja a sejteket a beteg csontvelőjéből az egészséges őssejtek befogadása előtt. Az ehhez a kezeléshez alkalmazott gyógyszerek károsíthatják a májban lévő véredények falát, ami a VOD-re jellemző vérrögképződéshez és érelzáródáshoz vezet.

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



A Defitelio hatóanyaga, a defibrotid, fokozza a vérrögök lebontását. Emellett a defibrotid védi a véredények falát alkotó sejteket is.

Milyen előnyei voltak a Defitelio alkalmazásának a vizsgálatok során?

A súlyos VOD magas, legalább 75%-os halálozási aránnyal jár. Egy fő vizsgálatban, amelyet 102, vér-össejt transzplantációt követően kialakult súlyos VOD-ben szenvedő beteg részvételével végeztek, a Defitelio-t standard támogató ellátásban részesült betegek korábbi adataival hasonlították össze. A Defitelio 100 nappal a transzplantáció után 62%-ra csökkentette a halálozási arányt és a betegek 24%-ánál a súlyos VOD tüneteit 100 nap elteltével teljesen megszüntette.

A Defitelio előnyeit egy egyesült államokbeli betegnyilvántartásból származó adatok (szabványosított formában gyűjtött betegadatok) is alátámasztják, melyek szerint azok a vér-össejt transzplantációt követően kialakult súlyos VOD-ben szenvedő betegek, akik Defitelio-t és standard ellátást kaptak, jobb eredményeket mutattak, mint akik csak standard ellátásban részesültek, beleértve a magasabb 100 napos túlélési arányt (39%, illetve 31%) és azon betegek magasabb arányát, akiknél a VOD tünetei megszűntek (51%, illetve 29%).

Milyen kockázatokkal jár a Defitelio alkalmazása?

A Defitelio leggyakoribb mellékhatásai az alacsony vérnyomás és a vérzés. A Defitelio alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Defitelio-t nem szabad vérrögök lebontására szolgáló egyéb gyógyszerrel együtt alkalmazni. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Defitelio forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Defitelio alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető. Bizonyítást nyert, hogy a Defitelio a súlyos VOD-ben szenvedő betegeknél javítja a túlélés esélyét. Bár nem volt lehetséges egy olyan vizsgálat lefolytatása, amely közvetlen összehasonlítást tett volna lehetővé a Defitelio és a placebo (hatóanyag nélküli kezelés) között, a vállalat elegendő adatot szolgáltatott annak igazolására, hogy a gyógyszer fokozza a betegek túlélési esélyeit. A tapasztalt mellékhatásokat – például a vérzést – kezelhetőnek tekintették, és teljes bizonyossággal nem volt megállapítható, hogy azokat a Defitelio okozta-e.

A Defitelio forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Defitelio-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Defitelio-val kapcsolatban?

Mivel a Defitelio forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a gyógyszert forgalmazó vállalatnak be kell mutatnia egy olyan, a gyógyszer biztonságosságát tanulmányozó, folyamatban lévő vizsgálat eredményeit, amelyben azt hemopoetikus össejt-transzplantációban részesülő felnőtteknél és gyermekeknél a VOD megelőzésére alkalmazzák. Emellett a vállalat elemezni fogja a VOD-ben szenvedő, Defitelio-val kezelt és nem kezelt betegek transzplantációjának kimenetelére vonatkozó adatokat is.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Defitelio biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Defitelio biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Defitelio alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Defitelio alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Defitelio-val kapcsolatos egyéb információ

2013. október 18-án a Defitelio az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Defitelio-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 10-2019.