



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/117223/2023
EMA/H/C/004751

Trecondi (*treoszulfán*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Trecondi és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Trecondi egy olyan gyógyszer, amelyet az „allogén vércépzőrendszeri őssejt-transzplantáció” néven ismert, donortól származó csontvelő-átültetést megelőzően adnak a betegeknek. A gyógyszert „kondicionáló” kezelésként alkalmazzák a beteg csontvelői sejtjeinek elpusztítására és arra, hogy helyet csináljanak az átültetett csontvelősejteknek, amelyek aztán egészséges vörsejteket tudnak majd létrehozni.

A Trecondi-t a fludarabin nevű gyógyszerrel együtt alkalmazzák olyan felnőtteknél és 1 hónapos és idősebb gyermekeknél, akik vércépzőszervi daganatokban vagy más, csontvelő-átültetést igénylő súlyos betegségben szenvednek.

A Trecondi hatóanyaga a treoszulfán.

Mivel az allogén vércépzőrendszeri őssejt-transzplantáció „ritkának” minősül, a Trecondi-t 2004. február 23-án „ritka betegség elleni gyógyszerrel” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu304186.

Hogyan kell alkalmazni a Trecondi-t?

A Trecondi-t két órán át tartó vénás infúzióban adják be. A Trecondi infúziót naponta egyszer kell beadni az átültetést megelőző 3 napban. A fludarabint naponta egyszer kell alkalmazni az átültetést megelőző 5 napban.

A Trecondi csak receptre kapható, és alkalmazását az allogén vércépzőrendszeri őssejt-transzplantációt megelőző kondicionáló kezelésben jártas orvosnak kell felügyelnie.

A Trecondi alkalmazásával kapcsolatos további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

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



Hogyan fejt ki hatását a Trecondi?

A Trecondi hatóanyaga, a treoszulfán az alkiláló szereknek nevezett gyógyszerek csoportjába tartozik. A treoszulfán a szervezetben másik fajta vegyületekké, epoxidokká alakul át, amelyek elpusztítják a sejteket, különösen az olyan gyorsan osztódó sejteket, mint a csontvelősejtek. Az epoxidok azáltal fejtik ki hatásukat, hogy a sejtek DNS-éhez kapcsolódnak a sejtosztódás során. A Trecondi ezáltal elpusztítja a beteg csontvelőjében lévő sejteket, és így helyet biztosít a donortól származó új sejtek számára.

Milyen előnyei voltak a Trecondi alkalmazásának a vizsgálatok során?

Három fő vizsgálatban kimutatták, hogy a Trecondi legalább olyan hatékony, mint a buszulfán, a betegek vérképzőrendszeri őssejt-transzplantációra való felkészítésére szolgáló másik gyógyszer.

Az egyik vizsgálatban, amelyben 570 olyan felnőtt vett részt, akik akut mieloid leukémiában vagy mielodiszpláziás szindrómában (nagy számú kóros vérsejt termelődését előidéző betegségek) szenvedtek, a Trecondi-t (fludarabinnal együtt) kapó betegek 64%-a esett át sikeres átültetésen és volt betegségmentes 2 év után, míg a (fludarabinnal együtt adott) buszulfánnal kezelt betegeknél ez az arány 51% volt.

Egy másik vizsgálatban, amelyben 70, vérképzőszervi daganatban szenvedő gyermek vett részt, a Trecondi-t (fludarabinnal) kapó gyermekek 99%-a maradt életben 3 hónappal a transzplantáció után, 91% egy év után, 84% pedig három év után is.

Egy további vizsgálatban, amelyben 101, csontvelő-átültetést igénylő, súlyos betegségben szenvedő gyermek vett részt, a Trecondi-val kezelt 51 gyermek közül egy sem halt meg transzplantációval összefüggő okokból az eljárást követő 3 hónapon belül, míg a buszulfánnal (fludarabinnal) kezelt 50 gyermek közül 5 hunyt el. Egy évvel a transzplantáció után a Trecondi-t kapott gyermekek 96%-a, a buszulfánt kapott gyermekek 88%-a volt életben.

Milyen kockázatokkal jár a Trecondi alkalmazása?

A Trecondi felnőtteknél és gyermekeknél egyaránt előforduló leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fertőzések, a hányinger, a sztomatitisz (a szájnyálkahártya gyulladása), a hányás és a hasmenés. A fáradtság, a lázas neutropénia (lázalacsony fehérvérsejtszám) és a bilirubin (a vörösvértestek bomlásterméke) magas szintje a vérben 10 felnőtt közül szintén több mint 1-nél jelentkezhet, a májtoxicitás és bizonyos májenzimek szintjének emelkedése, hasi fájdalom, viszketés és láz 10 gyermek közül szintén több mint 1-nél jelentkezhet.

Felnőtteknél gyakori mellékhatások (100 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hasi fájdalom, az étvágycsökkenés, a kiütés, a viszketés, a hajhullás, a láz, az ödéma (folyadékviszataratás miatti duzzanat) és bizonyos májenzimek emelkedett vérszintje. Gyermekeknél gyakori mellékhatások (100 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fáradtság, a lázas neutropénia, a kiütés, a hajhullás és a bilirubin magas szintje a vérben.

A Trecondi infúzió nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknek aktív, kontrollálatlan fertőzése van, akiknél súlyos szív-, tüdő-, máj- vagy veseprobléma áll fenn, valamint akik Fanconi-anémiában vagy egyéb, a DNS-törések javításában bekövetkező zavarokban szenvednek. A Trecondi nem alkalmazható várandós nőknél, és a Trecondi infúziót kapó betegek nem kaphatnak élő vakcinát.

A mellékhatások és korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Trecondi forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Trecondi hatásos a felnőttek és gyermekek vérképzőrendszeri őssejt-transzplantációra való felkészítése során alkalmazva.

A Trecondi mellékhatásai kezelhetők, és hasonlóak a buszulfánnál tapasztalt mellékhatásokhoz. A buszulfánhoz hasonlóan a Trecondi „csökkentett intenzitású” kondicionáló kezelés, ami azt jelenti, hogy kevésbé mérgező, mint a sugárzással vagy anélkül alkalmazott, kemoterápián alapuló szokásos kondicionáló kezelések.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Trecondi alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

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

A Trecondi-val kapcsolatos egyéb információ

2019. június 20-án a Trecondi az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Trecondi-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/trecondi.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 02-2023.