



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotidas*)

Defitelio apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Defitelio ir kam jis vartojamas?

Defitelio yra vaistas, kuriuo gydoma sunkios formos venų okliuzinė liga (VOL), diagnozuota pacientams, kuriems atliekamas hematopoetinių (kraujo) kamieninių ląstelių persodinimas. VOL – tai būklė, kai kepenų venos užanka ir dėl to sutrinka normali kepenų veikla. Defitelio skiriamas suaugusiems ir vyresniems kaip vieno mėnesio amžiaus vaikams.

Defitelio sudėtyje yra veikliosios medžiagos defibrotido.

VOL laikoma reta, todėl 2004 m. liepos 29 d. Defitelio buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kaip vartoti Defitelio?

Defitelio galima įsigyti tik pateikus receptą ir jį gali išrašyti ir sulašinti tik hematopoetinių kamieninių ląstelių persodinimo komplikacijų gydymo patirties turintis gydytojas. Defitelio lašinamas į veną dvi valandas 4 kartus per parą. Vaisto dozė priklauso nuo paciento kūno svorio. Gydyti šiuo vaistu reikia bent 3 savaites ir gydymą tęsti tol, kol pacientui išnyksta simptomai. Daugiau informacijos apie Defitelio vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją ar vaistininką.

Kaip veikia Defitelio?

VOL – tai komplikacija, paprastai pasireiškianti taikant vadinamąją mieloabliacinę chemoterapiją prieš persodinant kraujo kamienines ląsteles. Mieloabliacinė chemoterapija atliekama siekiant išvalyti pacientų kaulų čiulpus nuo ląstelių, prieš persodinant sveikas kamienines ląsteles. Šiai procedūrai naudojami vaistai gali pažeisti kepenų kraujagyslių sienelės, todėl gali susidaryti krešuliai ir užsikimšti kraujagyslės; būtent tai nutinka sergant VOL.

Veikioji Defitelio medžiaga defibrotidas skatina kraujo krešulių irimą. Be to, defibrotidas gali apsaugoti kraujagyslių sienelių ląsteles.

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



Kokia Defitelio nauda nustatyta tyrimų metu?

Pacientų mirštamumas sergant sunkia VOL yra labai didelis – siekia 75 proc. arba daugiau. Viename pagrindiniame tyrime su 102 pacientais, kurie po kraujo kamieninių ląstelių persodinimo susirgo sunkia VOL, Defitelio poveikio duomenys buvo lyginami su ankstesniais pacientų, kuriems buvo taikoma standartinė palaikomoji terapija, duomenimis. Vartojant Defitelio 100-ąją dieną nuo persodinimo pacientų mirštamumas buvo sumažėjęs iki 62 proc., o 24 proc. pacientų pasireiškiantys sunkios VOL simptomai po 100 dienų buvo išnykę.

Defitelio naudą taip pat įrodo Jungtinių Valstijų pacientų registro duomenys (standartiniu būdu surinkta informacija apie pacientus): sunkia VOL po kraujo kamieninių ląstelių persodinimo susirgusių pacientų, kuriems buvo taikomas gydymas Defitelio ir standartinė terapija, gydymo rezultatai buvo geresni nei tų, kuriems buvo taikoma tik standartinė terapija, įskaitant geresnį išgyvenamumą 100-ąją dieną (39 plg. su 31 proc.) ir didesnę pacientų, kuriems VOL simptomai išnyko, dalį (51 plg. su 29 proc.).

Kokia rizika susijusi su Defitelio vartojimu?

Dažniausias Defitelio šalutinis poveikis yra hipotenzija (žemas kraujospūdis) ir kraujavimas. Išsamų visų Defitelio šalutinio poveikio reiškinių sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Defitelio negalima vartoti kartu su kitais kraujo krešulius skaidančiais vaistais. Išsamus visų apribojimų sąrašas pateiktas pakuotės lapelyje.

Kodėl Defitelio buvo registruotas ES?

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Defitelio nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES. Įrodyta, kad Defitelio gerina sunkia VOL sergančių pacientų išgyvenamumą. Nors nebuvo galimybės atlikti tyrimą, kuriame Defitelio būtų tiesiogiai lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos), bendrovė pateikė pakankamai duomenų, iš kurių matyti, kad šiuo vaistu gydomų pacientų išgyvenamumo tikimybė yra didesnė. Laikytasi nuomonės, kad nustatytą šalutinį poveikį, kaip antai kraujavimą, galima kontroliuoti, nors nebuvo galimybės nustatyti, ar juos tikrai sukėlė Defitelio.

Defitelio registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Defitelio. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią apžvalgą.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Defitelio?

Kadangi Defitelio registruotas išimtinėmis sąlygomis, vaistu prekiaujanti bendrovė turi pateikti šiuo metu atliekamo tyrimo, kuriuo siekiama įvertinti vaisto saugumą skiriant jį VOL profilaktikai suaugusiems ir vaikams, kuriems atliekamas hematopoetinių kamieninių ląstelių persodinimas, rezultatus. Bendrovė taip pat išanalizuos duomenis apie kamieninių ląstelių persodinimo Defitelio gydymams ir negydymams pacientams, kurie vėliau susirgo VOL, rezultatus.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Defitelio vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Defitelio vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Defitelio vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Defitelio šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Defitelio

Defitelio buvo registruotas visoje Europos Sąjungoje 2013 m. spalio 18 d.

Daugiau informacijos apie Defitelio rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2019-10.