



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotīds*)

Defitelio pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Defitelio* un kāpēc tās lieto?

Defitelio ir zāles, ko lieto smagas venookluzīvas slimības (VOD) ārstēšanai pacientiem, kuriem veic asinsrades cilmes šūnu transplantāciju. Venookluzīva slimība ir stāvoklis, kad nosprostojas aknu vēnas un rodas aknu darbības traucējumi. *Defitelio* lieto pieaugušajiem un bērniem no viena mēneša vecuma.

Defitelio satur aktīvo vielu defibrotīdu.

Venookluzīvā slimība ir "reta", un 2004. gada 29. jūlijā *Defitelio* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kā lieto *Defitelio*?

Defitelio var iegādāties tikai pret recepti, un tās drīkst izrakstīt un ievadīt ārsts ar pieredzi asinsrades cilmes šūnu transplantācijas komplikāciju ārstēšanā. Tās ievada infūzijas veidā vēnā (pa pilienam) divu stundu laikā četras reizes dienā. Deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas. Ārstēšana jāveic vismaz trīs nedēļas un jāturpina, līdz pacienta simptomi izzūd. Papildu informāciju par *Defitelio* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Defitelio* darbojas?

Venookluzīva slimība parasti ir komplikācija terapijai, ko sauc par "mieloablatīvu ķīmijterapiju" un ko pacientiem veic pirms asinsrades cilmes šūnu transplantācijas. Mieloablatīvo terapiju lieto, lai attīrītu pacienta kaulu smadzenes no šūnām pirms veselu cilmes šūnu saņemšanas. Šai terapijai izmantotās zāles var bojāt aknu asinsvadu iekšējo slāni, izraisot trombu veidošanos un venookluzīvas slimības gadījumā novēroto asinsvadu nosprostošanos.

Defitelio aktīvā viela defibrotīds darbojas, veicinot asins trombu sadalīšanos. Turklāt defibrotīds var aizsargāt asinsvadus izklājošās šūnas.

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



Kādi *Defitelio* ieguvumi atklāti pētījumos?

Smagai venookluzīvai slimībai ir augsts mirstības rādītājs — no 75 % vai vairāk. Vienā pamatpētījumā, iesaistot 102 pacientus ar smagu venookluzīvu slimību pēc asinsrades cilmes šūnu transplantācijas, salīdzināja *Defitelio* ar agrākiem ierakstiem par pacientiem, kuri bija saņēmuši standarta atbalstošo aprūpi. *Defitelio* 100 dienas pēc transplantācijas samazināja mirstības rādītāju līdz 62 % un pēc 100 dienām smagas venookluzīvas slimības simptomu vairs nebija 24 % pacientu.

Defitelio ieguvumus konstatēja arī datos par ASV reģistrā iekļautiem pacientiem (standarta veidā ievāktā informācija par pacientiem), kur tiem pacientiem ar smagu venookluzīvu slimību pēc asinsrades cilmes šūnu transplantācijas, kuri saņēma *Defitelio* un standarta aprūpi, rezultāti bija labāki nekā pacientiem, kuriem sniedza tikai standarta aprūpi, tostarp augstāku 100 dienu dzīvildzes biežumu (39 %, salīdzinot ar 31 %) un lielāku to pacientu īpatsvaru, kuriem venookluzīvā slimība bija izzudusi (51 %, salīdzinot ar 29 %).

Kāds risks pastāv, lietojot *Defitelio*?

Visbiežākās *Defitelio* blakusparādības ir hipotensija (pazemināts asinsspiediens) un asiņošana. Pilnu visu blakusparādību sarakstu, lietojot *Defitelio*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Defitelio nedrīkst lietot kopā ar citām zālēm, kas izraisa trombu sadalīšanos. Pilnu ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Defitelio* ir reģistrētas ES?

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Defitelio*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES. Pierādīts, ka *Defitelio* uzlabo dzīvildzi pacientiem ar smagu venookluzīvo slimību. Lai gan nebija iespējams veikt pētījumu, kurā tieši salīdzināja *Defitelio* ar placebo (zāļu imitāciju), uzņēmums bija iesniedzis pietiekami daudz datu, lai pierādītu, ka ar šīm zālēm ārstētiem pacientiem ir uzlabojusies dzīvildze. Novērotās blakusparādības, piemēram, asiņošana, tika uzskatītas par kontrolējamām, un nebija iespējams droši noteikt, vai tieši *Defitelio* tās izraisa.

Defitelio ir reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Defitelio*. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Defitelio* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Defitelio* ir reģistrētas izņēmuma kārtā, uzņēmumam, kas piedāvā tirgū šīs zāles, ir jāiesniedz rezultāti no vēl notiekoša pētījuma par šo zāļu drošumu, lietojot tās venookluzīvas slimības profilaksei bērniem un pieaugušajiem, kuriem veic asinsrades šūnu transplantāciju. Uzņēmums arī analizēs datus par transplantācijas iznākumiem venookluzīvās slimības pacientiem, kuri ir un kuri nav saņēmuši ārstēšanu ar *Defitelio*.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Defitelio* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Defitelio* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Defitelio* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Defitelio* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Defitelio*

Defitelio 2013. gada 18. oktobrī saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Defitelio* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2019. gada oktobrī.