



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotide*)

Ħarsa ġenerali lejn Defitelio u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Defitelio u għal xiex jintuża?

Defitelio huwa mediċina li tintuża biex tikkura marda venookklużiva (VOD) severa f'pazjenti li qiegħed isirilhom trapjant taċ-ċelloli staminali ematopojetiči (tad-demmm). VOD hija kondizzjoni li fiha l-vini fil-fwied jiġu mblukkati u jwaqqfu l-fwied milli jaħdem kif suppost. Defitelio jintuża fl-adulti u fit-tfal minn xahar 'il fuq.

Defitelio fih is-sustanza attiva defibrotide.

VOD hija rari, u Defitelio ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fid-29 ta' Lulju 2004. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kif jintuża Defitelio?

Defitelio jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u dan għandu jiġi preskritt u jingħata minn tabib b'esperjenza fil-ġestjoni ta' kumplikazzjonijiet ta' trapjanti taċ-ċelloli staminali tad-demmm. Jingħata permezz ta' infużjoni (dripp) fil-vina tul saġhtejn 4 darbiet kuljum. Id-doża tiddependi mill-piż tal-ġisem tal-pazjent. Il-kura għandha ddum għal tal-inqas 3 ġimgħat u għandha tkompli sakemm il-pazjent ma jibqax ikollu sintomi. Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Defitelio, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Defitelio?

VOD normalment hija kumplikazzjoni li tirriżulta minn kura magħrufa bħala "kimoterapija majeloablative" li tingħata qabel trapjant taċ-ċelloli staminali tad-demmm. Kimoterapija majeloablative tintuża biex tneħħi ċ-ċelloli mill-mudullun tal-pazjent qabel ma jirċievi ċelloli staminali b'saħħithom. Il-mediċini li jintużaw għal din il-kura jistgħu jagħmlu ħsara fil-kisja tal-važi tad-demmm fil-fwied, b'hekk iwasslu għall-formazzjoni ta' emboli u l-ostruzzjoni tal-važi li tidher f'VOD.

Is-sustanza attiva f'Defitelio, id-defibrotide, taħdem billi żżid it-tkissir tal-emboli fid-demmm. Barra minn hekk, id-defibrotide tista' tipproteġi ċ-ċelloli li jiksu l-važi tad-demmm.

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



X'inhuma l-benefiċċi ta' Defitelio li ħarġu mill-istudji?

VOD severa għandha rata ta' mortalità ta' 75 % jew għola. Fi studju ewlieni wieħed li involva 102 pazjenti b'VOD severa wara trapjant taċ-ċelloli staminali tad-demmm, Defitelio tqabbel ma' rekords tal-passat ta' pazjenti li kienu rċivew kura ta' sostenn standard. Defitelio baxxa rata ta' mortalità għal 62 % fil-100 jum wara t-trapjant, u 24 % tal-pazjenti ma kellhom l-ebda sintomu ta' VOD severa wara 100 jum.

Il-benefiċċi ta' Defitelio dehru wkoll f'data minn reġistru tal-pazjenti fl-Istati Uniti (l-informazzjoni dwar il-pazjenti ngabret b'mod standard), fejn pazjenti b'VOD severa wara trapjant taċ-ċelloli staminali tad-demmm li rċivew Defitelio flimkien ma' kura standard kellhom riżultati aħjar minn dawk li ngħataw kura standard biss, inkluż rata ogħla ta' sopravivenza wara 100 jum (39 % kontra 31 %) u proporzjon ogħla ta' pazjenti li l-VOD tagħhom fieqet (51 % kontra 29 %).

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Defitelio?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Defitelio huma ipotensjoni (pressjoni tad-demmm baxxa) u fsada. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji ta' Defitelio, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Defitelio m'għandux jintuża flimkien ma' mediċini oħra li jkissru l-emboli tad-demmm. Għal-lista sħiħa tar-restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Defitelio ġie awtorizzat fl-UE?

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċi ta' Defitelio huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE. Defitelio ntweraw li jtejjeb is-sopravivenza f'pazjenti b'VOD severa. Għalkemm ma kienx possibbli jsir studju li jqabbel direttament Defitelio ma' placebo (kura finta), il-kumpanija kienet ipprovdiet biżżejjed data biex turi li l-pazjenti kkurati bil-mediċina kienu tejbju l-probabbiltà ta' sopravivenza. L-effetti sekondarji li dehru, bħal fsada, tqiesu bħala li jistgħu jiġu mmaniġġjati u ma kienx possibbli li jiġi determinat b'ċertezza jekk ġewx ikkawżati minn Defitelio.

Defitelio ġie awtorizzat taħt 'ċirkustanzi ta' eċċezzjoni'. Dan minħabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompluta dwar Defitelio minħabba r-rarità tal-marda. Kull sena, l-Aġenzija ser tirreżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u din il-ħarsa ġenerali tiġi aġġornata kif meħtieġ.

Liema informazzjoni għadha mistennija għal Defitelio?

Minħabba li Defitelio ġie awtorizzat taħt ċirkostanzi ta' eċċezzjoni, il-kumpanija li tqiegħed il-mediċina fis-suq hija meħtieġa li tipprovdri riżultati ta' studju li għadu għaddej dwar is-sigurtà tal-mediċina meta tintuża għall-prevenzjoni ta' VOD f'adulti u tfal li qiegħed isirilhom trapjant taċ-ċelloli staminali ematopojetici. Il-kumpanija sejra tanalizza wkoll id-data dwar ir-riżultati tat-trapjanti f'pazjenti b'VOD li ġew u ma ġewx ikkurati b'Defitelio.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Defitelio?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professionisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Defitelio.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-data dwar l-użu ta' Defitelio hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrappurtati b'Defitelio huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħhuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Defitelio

Defitelio rċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha fit-18 ta' Ottubru 2013.

Aktar informazzjoni dwar Defitelio tinstab fis-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'10-2019.