



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/117229/2023
EMA/H/C/004751

Trecondi (*treosulfan*)

Przegląd wiedzy na temat leku Trecondi i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Trecondi i w jakim celu się go stosuje

Trecondi jest lekiem podawanym pacjentom przed przeszczepieniem szpiku kostnego od dawcy znany jako „allogeniczne przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych”. Lek stosuje się jako leczenie „kondycjonujące”, aby wyczyścić szpik kostny pacjenta i zrobić miejsce dla przeszczepionych komórek szpiku kostnego, które mogą następnie produkować zdrowe komórki krwi.

Lek Trecondi stosuje się w skojarzeniu z lekiem o nazwie fludarabina u osób dorosłych i dzieci w wieku od 1 miesiąca życia z nowotworami krwi lub innymi poważnymi zaburzeniami wymagającymi przeszczepienia szpiku kostnego.

Substancją czynną leku Trecondi jest treosulfan.

Przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych występuje rzadko, zatem w dniu 23 lutego 2004 r. lek Trecondi uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu304186.

Jak stosować lek Trecondi

Lek Trecondi podaje się w postaci dwugodzinnego wlewu dożylnego (kroplówki). Pacjent otrzymuje lek Trecondi raz na dobę przez 3 dni przed przeszczepem. Fludarabinę podaje się raz na dobę przez 5 dni przed przeszczepem.

Lek wydawany na receptę. Stosowanie leku musi nadzorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu kondycjonującym przed allogenicznym przeszczepieniem krwiotwórczych komórek macierzystych.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Trecondi znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jak działa lek Trecondi

Substancja czynna leku Trecondi, treosulfan, należy do grupy leków zwanych lekami alkilującymi. W organizmie treosulfan przekształca się w inne związki zwane epoksydami, które zabijają komórki, zwłaszcza komórki szybko rozwijające się, takie jak komórki szpiku kostnego. Działanie epoksydów polega na przyłączaniu się do DNA komórek podczas ich podziału. Dzięki temu lek Trecondi może zabijać komórki w szpiku kostnym pacjenta i stworzyć miejsce dla nowych komórek od dawcy.

Korzyści ze stosowania leku Trecondi wykazane w badaniach

W dwóch badaniach głównych wykazano, że lek Trecondi jest co najmniej równie skuteczny jak busulfan, inny lek stosowany do przygotowania pacjentów do przeszczepu krwiotwórczych komórek macierzystych.

W jednym z badań z udziałem 570 osób dorosłych z ostrą białaczką szpikową (nowotwór krwi) lub zespołami mielodysplastycznymi (choroby, w przebiegu których produkowana są duża liczba nietypowych komórek krwi), u 64% pacjentów, którym podano Trecondi (z fludarabiną), przeszczep się powiódł: i po 2 latach pacjenci ci nadal żyli i byli wolni od choroby, w porównaniu z 51% pacjentów, którym podano busulfan (z fludarabiną).

W innym badaniu z udziałem 70 dzieci z nowotworami krwi 99% dzieci, którym podano lek Trecondi (z fludarabiną), żyło 3 miesiące po przeszczepie; 91% dzieci żyło po roku, a 84% po trzech latach.

W dodatkowym badaniu z udziałem 101 dzieci z innymi poważnymi zaburzeniami wymagającymi przeszczepienia szpiku kostnego żadne z 51 dzieci, którym podano lek Trecondi nie zmarło z przyczyn związanych z przeszczepem w ciągu 3 miesięcy po zabiegu, w porównaniu z 5 na 50 dzieci, którym podano busulfan (z fludarabiną). Rok po przeszczepie przy życiu pozostawało 96% dzieci, którym podano lek Trecondi i 88% dzieci, którym podano busulfan.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Trecondi

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Trecondi u osób dorosłych i dzieci (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: zakażenia, nudności (mdłości), zapalenie jamy ustnej (stan zapalny błony śluzowej jamy ustnej), wymioty i biegunka. U więcej niż 1 na 10 osób dorosłych obserwuje się również zmęczenie, gorączka neutropeniczna (mała liczba krwinek białych z gorączką) oraz wysokie stężenie bilirubiny (produktu rozpadu krwinek czerwonych) we krwi, natomiast u więcej niż 1 na 10 dzieci występuje również toksyczność wątrobowa i wzrost stężenia niektórych enzymów wątrobowych we krwi, ból brzucha, świąd i gorączka.

Najczęstsze działania niepożądane u osób dorosłych (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 100 pacjentów) to: ból brzucha, zmniejszony apetyt, wysypka, świąd, wypadanie włosów, gorączka, obrzęki (opuchlizna spowodowana zatrzymaniem płynów) oraz podwyższony poziom niektórych enzymów wątrobowych we krwi. Najczęstsze działania niepożądane u dzieci (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 100 pacjentów) to: zmęczenie, gorączka neutropeniczna, wysypka, wypadanie włosów i wysokie stężenie bilirubiny we krwi.

Leku Trecondi nie należy stosować u pacjentów z aktywnym, niekontrolowanym zakażeniem, poważnymi zaburzeniami pracy serca, płuc, wątroby lub nerek oraz u pacjentów z niedokrwistością Fanconiego i innymi zaburzeniami naprawy pęknięć nici DNA. Leku Trecondi nie należy stosować u kobiet w ciąży, a pacjentom otrzymującym lek Trecondi nie wolno przyjmować żywych szczepionek.

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Trecondi w UE

Lek Trecondi skutecznie przygotowuje dorosłych i dzieci do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych.

Działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Trecondi są możliwe do opanowania i porównywalne z działaniami niepożądanymi busulfanu. Podobnie jak busulfan lek Trecondi uznaje się za leczenie kondycjonujące o ograniczonej intensywności: oznacza to, że jest on mniej toksyczny niż standardowe sposoby leczenia kondycjonującego, które opierają się na chemioterapii z promieniowaniem lub bez promieniowania.

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Trecondi przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Trecondi

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Trecondi w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Trecondi są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Trecondi są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Trecondi

Lek Trecondi otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 20 czerwca 2019 r.

Dalsze informacje na temat leku Trecondi znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/trecondi.

Data ostatniej aktualizacji: 02.2023.