

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

Defitelio (*defibrotido*)

Um resumo sobre Defitelio e porque está autorizado na UE

O que é Defitelio e para que é utilizado?

Defitelio é um medicamento utilizado para o tratamento da doença veno-occlusiva (DVO) grave em doentes submetidos a transplante de células estaminais hematopoiéticas (do sangue). A DVO é uma doença na qual as veias do fígado ficam bloqueadas, resultando no mau funcionamento do fígado. Defitelio é utilizado em adultos e crianças a partir de um mês de idade.

Defitelio contém a substância ativa defibrotido.

A DVO é uma doença rara, e Defitelio foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 29 de julho de 2004. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Como se utiliza Defitelio?

Defitelio só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser prescrito e administrado por um médico com experiência no tratamento de complicações do transplante de células estaminais sanguíneas. É administrado por perfusão (administraçãogota a gota) numa veia, durante mais de 2 horas, 4 vezes por dia. A dose depende do peso corporal do doente. O tratamento deve ter uma duração mínima de 3 semanas e ser mantido até o doente deixar de apresentar sintomas. Para mais informações sobre a utilização de Defitelio, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Defitelio?

A DVO é, normalmente, uma complicação resultante da quimioterapia mieloablativa, um tratamento administrado antes do transplante de células estaminais sanguíneas. A quimioterapia mieloablativa é utilizada para eliminar as células da medula óssea do doente antes de este receber células estaminais saudáveis. Os medicamentos utilizados para este tratamento podem danificar o revestimento dos vasos sanguíneos no fígado, dando origem à formação de coágulos e à obstrução dos vasos observada na DVO.

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

A substância ativa de Defitelio, o defibrotido, aumenta a decomposição dos coágulos no sangue. Além disso, o defibrotido protege as células que revestem os vasos sanguíneos.

Quais os benefícios demonstrados por Defitelio durante os estudos?

A DVO grave tem uma taxa de mortalidade elevada, igual ou superior a 75 %. Num estudo principal que incluiu 102 doentes com DVO grave após um transplante de células estaminais sanguíneas, Defitelio foi comparado com registos anteriores de doentes que tinham recebido cuidados de suporte padrão. Defitelio reduziu a taxa de mortalidade para 62 % aos 100 dias após o transplante e 24 % dos doentes não apresentavam sintomas de DVO grave após 100 dias de tratamento.

Os benefícios de Defitelio foram igualmente observados em dados de um registo de doentes nos Estados Unidos (informação sobre doentes recolhida de forma normalizada), em que doentes com DVO grave após um transplante de células estaminais sanguíneas que receberam Defitelio em associação com cuidados padrão apresentaram melhores resultados do que os doentes que receberam unicamente cuidados padrão, incluindo uma taxa de sobrevivência mais elevada aos 100 dias (39 % *versus* 31 %) e uma maior percentagem de doentes em que se observou a resolução da DVO (51 % *versus* 29 %).

Quais são os riscos associados a Defitelio?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Defitelio são hipotensão (tensão arterial baixa) e hemorragias. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Defitelio, consulte o Folheto Informativo.

O Defitelio é contraindicado em associação com outros medicamentos que decompõem os coágulos sanguíneos. Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Defitelio autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Defitelio são superiores aos seus riscos e que o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE. Defitelio demonstrou melhorar a sobrevivência nos doentes com DVO grave. Embora não tenha sido possível realizar um estudo comparando diretamente Defitelio com um placebo (tratamento simulado), a empresa forneceu dados suficientes que demonstram que os doentes tratados com o medicamento apresentaram maiores hipóteses de sobrevivência. Os efeitos secundários observados, nomeadamente hemorragias, foram considerados tratáveis, não tendo sido possível determinar com certeza se tinham sido causados por Defitelio.

Defitelio foi autorizado em circunstâncias excepcionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Defitelio devido à raridade da doença. A Agência Europeia de Medicamentos procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Defitelio?

Uma vez que Defitelio foi autorizado em circunstâncias excepcionais, a empresa que comercializa o medicamento deverá apresentar os resultados de um estudo em curso sobre a segurança do medicamento quando utilizado para a prevenção de DVO em adultos e crianças submetidos a um transplante de células estaminais hematopoiéticas. A empresa também irá analisar dados dos resultados de transplante em doentes com DVO que foram ou não tratados com Defitelio.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Defitelio?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Defitelio.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Defitelio são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Defitelio são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Defitelio

A 18 de outubro de 2013, Defitelio recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia.

Mais informações sobre Defitelio podem ser encontradas no sítio Internet da Agência: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 10-2019.