



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotidă*)

Prezentare generală a Defitelio și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Defitelio și pentru ce se utilizează?

Defitelio este un medicament utilizat pentru tratarea bolii veno-ocluzive (BVO) severe la pacienții cărora li se efectuează transplant de celule stem hematopoietice (sanguine). BVO este o afecțiune în care venele din ficat se blochează și împiedică funcționarea corespunzătoare a ficatului. Defitelio se utilizează la adulți și la copii începând de la vârsta de o lună.

Defitelio conține substanța activă defibrotidă.

BVO este rară, iar Defitelio a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 29 iulie 2004. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Cum se utilizează Defitelio?

Defitelio se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și trebuie prescris și administrat de un medic cu experiență în tratamentul complicațiilor asociate transplantului de celule stem sanguine. Se administrează sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă) cu durată de 2 ore, de 4 ori pe zi. Doza depinde de greutatea corporală a pacientului. Tratamentul trebuie administrat cel puțin 3 săptămâni și continuat până când pacientul nu mai are simptome. Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Defitelio, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Defitelio?

De obicei, BVO este o complicație care apare în urma unui tratament numit „chimioterapie mieloablativă”, administrat înainte de transplantul de celule stem sanguine. Chimioterapia mieloablativă se utilizează pentru a distruge celulele din măduva osoasă a pacientului înainte ca acesta să primească celule stem sănătoase. Medicamentele utilizate pentru acest tratament pot deteriora pereții vaselor sanguine din ficat, ducând la formarea de cheaguri și la blocarea vaselor sanguine observată în BVO.

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



Substanța activă din Defitelio, defibrotida, acționează prin intensificarea dizolvării cheagurilor din sânge. În plus, defibrotida poate proteja celulele care căptușesc pereții vaselor sanguine.

Ce beneficii a prezentat Defitelio pe parcursul studiilor?

BVO severă are o rată mare a mortalității, de 75 % sau mai mult. Într-un studiu principal care a cuprins 102 pacienți cu BVO severă în urma unui transplant de celule stem sanguine, Defitelio a fost comparat cu fișele medicale anterioare ale pacienților cărora li se administrase tratament de susținere standard. Defitelio a redus rata mortalității la 62 % la 100 de zile după transplant, iar 24 % din pacienți nu au mai avut simptome de BVO severă după 100 de zile.

Beneficiile Defitelio au fost observate și în datele dintr-un registru de pacienți din Statele Unite ale Americii (informațiile despre pacienți fiind culese în mod standard), unde pacienții cu BVO severă după transplantul de celule stem sanguine cărora li s-au administrat Defitelio și tratament standard au avut rezultate mai bune decât cei cărora li s-a administrat numai tratamentul standard, inclusiv o rată mai mare de supraviețuire la 100 de zile (39 % față de 31 %) și un număr mai mare de pacienți la care BVO a dispărut (51 % față de 29 %).

Care sunt riscurile asociate cu Defitelio?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Defitelio sunt hipotensiune (tensiune arterială mică) și sângerare. Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Defitelio, citiți prospectul.

Defitelio este contraindicat în asociere cu alte medicamente care dizolvă cheagurile de sânge. Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Defitelio în UE?

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Defitelio sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE. S-a demonstrat că Defitelio îmbunătățește rata de supraviețuire la pacienții cu BVO severă. Deși nu a fost posibilă realizarea unui studiu care să compare direct Defitelio cu placebo (un preparat inactiv), compania a prezentat date suficiente pentru a demonstra că pacienții tratați cu acest medicament au avut șanse mai mari de supraviețuire. Reacțiile adverse observate, cum este sângerarea, au fost considerate gestionabile și nu s-a putut determina cu certitudine dacă au fost cauzate de Defitelio.

Defitelio a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Defitelio. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Defitelio?

Având în vedere că Defitelio a fost autorizat în circumstanțe excepționale, compania care comercializează medicamentul are obligația să prezinte rezultatele unui studiu în derulare privind siguranța medicamentului atunci când este utilizat pentru prevenirea BVO la adulții și copiii cărora li se efectuează transplant de celule stem hematopoietice. De asemenea, compania va analiza datele privind rezultatele transplantului atât la pacienții cu BVO care au fost tratați cu Defitelio, cât și la pacienții cu BVO care nu au primit acest tratament.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Defitelio?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Defitelio, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Defitelio sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Defitelio sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Defitelio

Defitelio a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 18 octombrie 2013.

Informații suplimentare cu privire la Defitelio sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 10-2019.