



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotid*)

Prehľad o lieku Defitelio a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Defitelio a na čo sa používa?

Liek Defitelio sa používa na liečbu závažného venookluzívneho ochorenia (VOD) u pacientov podstupujúcich transplantáciu hematopoetických (krvotvorných) kmeňových buniek. VOD je ochorenie, pri ktorom sú žily v pečeni zablokované, čo vedie k tomu, že pečeň prestane pracovať správne. Liek Defitelio sa používa u dospelých a detí od veku jedného mesiaca.

Liek Defitelio obsahuje liečivo defibrotid.

Ochorenie VOD je zriedkavé, a preto bol liek Defitelio dňa 29. júla 2004 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ako sa liek Defitelio používa?

Výdaj lieku Defitelio je viazaný na lekársky predpis a liek musí predpísať a podávať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou komplikácií pri transplantácii krvotvorných kmeňových buniek. Podáva sa infúziou (na kvapkanie) do žily počas 2 hodín 4 krát denne. Dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta. Liečba má trvať najmenej tri týždne a má pokračovať dovtedy, kým príznaky u pacienta neodznejú. Viac informácií o používaní lieku Defitelio si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Defitelio účinkuje?

VOD je zvyčajne komplikáciou liečby známej ako myeloablatívna chemoterapia, ktorá sa podáva pred transplantáciou krvotvorných kmeňových buniek. Myeloablatívna chemoterapia sa používa na vyčistenie kostnej drene pacienta od buniek predtým, ako pacient dostane zdravé kmeňové bunky. Lieky, ktoré sa používajú na túto liečbu, môžu poškodiť výstelku krvných ciev v pečeni, čo vedie k tvorbe zrazenín a zablokovaniu ciev pozorovaných pri VOD.

Liečivo lieku Defitelio, defibrotid, účinkuje tak, že zvyšuje rozpad krvných zrazenín v krvi. Defibrotid môže okrem toho chrániť bunky vystielajúce krvné cievy.

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



Aké prínosy lieku Defitelio boli preukázané v štúdiách?

Ťažké venookluzívne ochorenie má vysokú mortalitu, viac ako 75 %. V jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 102 pacientov so závažným VOD po transplantácii krvotvorných kmeňových buniek, sa liek Defitelio porovnával so záznamami pacientov z minulosti, ktorí dostávali štandardnú podpornú starostlivosť. Liek Defitelio znížil mieru mortality na 62 % na 100. deň po transplantácii a v prípade 24 % pacientov príznaky závažného VOD úplne odzneli po 100 dňoch.

Prínosy lieku Defitelio sa zistili aj na základe údajov z registra pacientov v Spojených štátoch (informácie o pacientoch zhromaždené štandardným spôsobom), podľa ktorých pacienti so závažným VOD po transplantácii krvotvorných kmeňových buniek, ktorí dostávali liek Defitelio a štandardnú starostlivosť, mali lepšie výsledky ako pacienti, ktorí dostávali iba štandardnú starostlivosť vrátane vyššej miery prežitia na 100. deň (39 % v porovnaní s 31 %) a vyššieho podielu pacientov, u ktorých VOD odznelo (51 % v porovnaní s 29 %).

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Defitelio?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Defitelio sú hypotenzia (nízky krvný tlak) a krvácanie. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Defitelio sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Defitelio sa nesmie používať spolu s inými liekmi, ktoré rozkladajú krvné zrazeniny. Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Defitelio povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Defitelio sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ. Preukázalo sa, že liek Defitelio zlepšuje prežitie u pacientov so závažným VOD. Hoci nebolo možné uskutočniť štúdiu, v ktorej by sa priamo porovnával liek Defitelio s placebom (zdanlivým liekom), spoločnosť predložila dostatočné údaje na preukázanie, že pacienti liečení týmto liekom mali lepšiu šancu na prežitie. Pozorované vedľajšie účinky, napríklad krvácanie, sa považovali za kontrolovateľné a nebolo možné s istotou určiť, či boli spôsobené liekom Defitelio.

Liek Defitelio bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Defitelio. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Defitelio dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Defitelio bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek uvádza na trh, musí predložiť výsledky prebiehajúcej štúdie o bezpečnosti lieku, keď sa liek používa na prevenciu VOD u dospelých a detí podstupujúcich transplantáciu hematopoetických kmeňových buniek. Spoločnosť bude tiež analyzovať údaje o výsledkoch transplantácie v prípade pacientov s VOD, ktorí boli liečení liekom Defitelio a ktorí ním neboli liečení.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Defitelio?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Defitelio boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Defitelio sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Defitelio sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Defitelio

Lieku Defitelio bolo dňa 18. októbra 2013 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Defitelio sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 10-2019