



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/117233/2023
EMA/H/C/004751

Trecondi (*treosulfán*)

Prehľad o lieku Trecondi a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Trecondi a na čo sa používa?

Liek Trecondi sa podáva pacientom pred transplantáciou kostnej drene od darcu, známou ako alogénna transplantácia hematopoetických kmeňových buniek. Používa sa ako tzv. kondicionálna liečba na vyčistenie kostnej drene pacienta a na vytvorenie priestoru pre transplantované bunky kostnej drene, ktoré tak môžu vytvárať zdravé krvinky.

Liek Trecondi sa používa spolu s liekom nazývaným fludarabín u dospelých a detí vo veku od jedného mesiaca s rakovinou krvi alebo inými závažnými poruchami, ktoré si vyžadujú transplantáciu kostnej drene.

Liečivo lieku Trecondi je treosulfán.

Transplantácia hematopoetických kmeňových buniek je zriedkavá, a preto bol liek Trecondi dňa 23. februára 2004 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia („orphan medicine“). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu304186.

Ako sa liek Trecondi používa?

Liek Trecondi sa podáva vo forme dvojhodinovej infúzie (na kvapkanie) do žily. Pacientom sa liek Trecondi podáva raz denne počas 3 dní pred transplantáciou. Fludarabín sa podáva raz denne počas 5 dní pred transplantáciou.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a používanie lieku Trecondi musí prebiehať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s kondicionálnou liečbou pred alogénnou transplantáciou hematopoetických kmeňových buniek.

Viac informácií o používaní lieku Trecondi si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

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.

Akým spôsobom liek Trecondi účinkuje?

Liečivo lieku Trecondi, treosulfán, patrí do skupiny liekov, ktoré sa nazývajú alkylačné látky. V tele sa treosulfán premieňa na iné zlúčeniny nazývané epoxidy, ktoré zabíjajú bunky, najmä bunky, ktoré sa rýchlo vyvíjajú, napríklad bunky kostnej drene. Epoxidy účinkujú tak, že sa naviažu na DNA buniek počas ich delenia. Liek Trecondi tak môže zabíjať bunky v kostnej dreni pacienta a vytvoriť priestor pre nové bunky od darcu.

Aké prínosy lieku Trecondi boli preukázané v štúdiách?

V troch hlavných štúdiách sa preukázalo, že liek Trecondi je minimálne taký účinný ako busulfán, iný liek používaný na prípravu pacientov na transplantáciu hematopoetických kmeňových buniek.

V jednej zo štúdií zahŕňajúcej 570 dospelých s akútnou myeloidnou leukémiou (rakovinou krvi) alebo myelodysplastickými syndrómami (ochoreniami, pri ktorých sa tvorí veľké množstvo abnormálnych krviniek), sa u 64 % pacientov, ktorým sa podával liek Trecondi (s fludarabínom), vykonala úspešná transplantácia, pričom po 2 rokoch boli nažive a bez príznakov ochorenia v porovnaní s 51 % pacientmi, ktorým sa podával busulfán (s fludarabínom).

V ďalšej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 70 detí s rakovinou krvi, 99 % detí, ktorým bol podávaný Trecondi (s fludarabínom), žilo tri mesiace po transplantácii; 91 % detí žilo po jednom roku a 84 % po troch rokoch.

V ďalšej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 101 detí s inými závažnými poruchami vyžadujúcimi transplantáciu kostnej drene, žiadne z 51 detí, ktorým sa podával liek Trecondi, nezomrelo v priebehu troch mesiacov po zákroku v dôsledku transplantácie v porovnaní s 5 z 50 detí, ktorým sa podával busulfán (s fludarabínom). Rok po transplantácii bolo nažive 96 % detí, ktorým sa podával liek Trecondi, a 88 % detí, ktorým sa podával busulfán.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Trecondi?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Trecondi u dospelých a detí (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú infekcie, nauzea (pocit nevoľnosti), stomatitída (zápal výstelky úst), vracanie a hnačka. Únava, febrilná neutropénia (nízky počet bielych krviniek s horúčkou) a vysoká hladina bilirubínu v krvi (produkt rozpadu červených krviniek) sa tiež pozorovali u viac ako 1 z 10 dospelých a pečenná toxicita a zvýšená hladina určitých pečeňových enzýmov v krvi, abdominálna bolesť (bolesť brucha), svrbenie a horúčka môžu postihnúť aj viac ako 1 z 10 detí.

Časté vedľajšie účinky u dospelých (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu zo 100) sú bolesť brucha, znížená chuť do jedla, vyrážka, svrbenie, vypadávanie vlasov, horúčka, edém (opuch spôsobený zadržiavaním tekutín) a zvýšená hladina určitých pečeňových enzýmov v krvi. Časté vedľajšie účinky u detí (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu zo 100) sú únava, febrilná neutropénia, vyrážka, vypadávanie vlasov a vysoká hladina bilirubínu v krvi.

Liek Trecondi sa nesmie používať u pacientov s aktívnou nekontrolovanou infekciou, so závažným ochorením srdca, pľúc, pečene alebo obličiek ani u pacientov s Fanconiho anémiou a inými poruchami opravy poškodenej DNA. Liek Trecondi nesmú používať tehotné ženy a pacientom, ktorí používajú liek Trecondi, sa nesmú podať živé očkovačie látky.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo je liek Trecondi povolený v EÚ?

Liek Trecondi je účinný pri príprave dospelých a detí na transplantáciu hematopoetických kmeňových buniek.

Vedľajšie účinky lieku Trecondi sú zvládnuteľné a porovnateľné s tými, ktoré sa pozorovali v prípade busulfánu. Podobne ako busulfán, aj liek Trecondi sa považuje za kondicionálnu liečbu s tzv. nižšou intenzitou. To znamená, že je menej toxický ako štandardné kondicionálne liečby, ktoré sú založené na chemoterapii spolu s ožarovaním alebo bez neho.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Trecondi sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

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

Na bezpečné a účinné používanie lieku Trecondi 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 Trecondi sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Trecondi sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Trecondi

Liek Trecondi bolo dňa 20. júna 2019 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Trecondi sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/trecondi.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 02-2023