



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotid*)

Pregled zdravila Defitelio in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Defitelio in za kaj se uporablja?

Defitelio je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje hude venookluzivne bolezni (VOB) pri bolnikih, ki so prestali presaditev hematopoetskih (krvotvornih) matičnih celic. Huda venookluzivna bolezen je bolezen, pri kateri se vene v jetrih zamašijo, to pa povzroči jetrno okvaro. Zdravilo Defitelio se lahko uporablja pri odraslih in otrocih, starejših od enega meseca.

Vsebuje učinkovino defibrotid.

Venookluzivna bolezen je redka, zato je bilo zdravilo Defitelio 29. julija 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Kako se zdravilo Defitelio uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Defitelio je le na recept, zdravljenje pa mora predpisati in izvajati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem zapletov pri presaditvi krvotvornih matičnih celic. Daje se z dvournno (kapalno) infuzijo v veno štirikrat na dan. Odmerek je odvisen od bolnikove telesne mase. Zdravljenje mora trajati vsaj tri tedne in se nadaljevati, dokler simptomi pri bolniku ne izzvenijo. Za več informacij glede uporabe zdravila Defitelio glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Defitelio deluje?

Venookluzivna bolezen je običajno zaplet, ki je posledica zdravljenja, imenovanega „mieloablativna kemoterapija“, ki se bolniku daje pred presaditvijo krvotvornih matičnih celic. Mieloablativna kemoterapija se uporablja zato, da se iz kostnega mozga bolnika izločijo celice, preden ta prejme zdrave matične celice. Zdravila, ki se uporabijo pri tem zdravljenju, lahko poškodujejo notranje plasti krvnih žil v jetrih, to pa lahko povzroči nastanek strdkov in zaporo žil, ki se pojavita pri venookluzivni bolezni.

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



Učinkovina v zdravilu Defitelio, defibrotid, deluje tako, da pospešuje razgrajevanje strdkov v krvi. Poleg tega utegne ščititi celice, ki tvorijo notranjo plast stene krvnih žil.

Kakšne koristi zdravila Defitelio so se pokazale v študijah?

Stopnja umrljivosti zaradi hude venookluzivne bolezni je visoka in znaša 75 % ali več. V eni glavni študiji, v katero sta bila vključena 102 bolnika s hudo venookluzivno boleznijo, ki je bila posledica presaditve krvotvornih matičnih celic, so zdravilo Defitelio primerjali z zdravniškimi izvidi bolnikov iz preteklosti, ki so prejeli standardno podporno zdravljenje. Zdravilo Defitelio je po 100 dneh po presaditvi zmanjšalo stopnjo umrljivosti na 62 %, 24 % bolnikov pa po 100 dneh ni imelo nobenih simptomov hude venookluzivne bolezni.

Koristi zdravila Defitelio so bile opažene tudi pri podatkih iz registra bolnikov v ZDA (informacije o bolnikih, zbrane na standarden način), na podlagi katerih so imeli bolniki s hudo venookluzivno boleznijo, ki so po presaditvi krvotvornih matičnih celic prejeli zdravilo Defitelio v kombinaciji s standardnim zdravljenjem, boljše izide kot tisti, ki so prejeli samo standardno zdravljenje, vključno z višjo stopnjo preživetja po 100 dneh (39 % v primerjavi z 31 %) in višjim odstotkom bolnikov, pri katerih so simptomi venookluzivne bolezni izginili (51 % v primerjavi z 29 %).

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Defitelio?

Najpogostejša neželena učinka zdravila Defitelio sta hipotenzija (nizek krvni tlak) in krvavitev. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Defitelio, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Defitelio se ne sme uporabljati skupaj z drugimi zdravili za razgrajevanje krvnih strdkov. Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je zdravilo Defitelio odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Defitelio večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU. Zdravilo Defitelio je dokazano izboljšalo stopnjo preživetja pri bolnikih s hudo venookluzivno boleznijo. Čeprav ni bilo mogoče izvesti študije, v kateri bi zdravilo Defitelio neposredno primerjali s placebom (zdravilom brez učinkovine), je podjetje priskrbelo dovolj podatkov, da je dokazalo, da so imeli bolniki, ki so se zdravili z zdravilom, večje možnosti preživetja. Neželeni učinki, kot je krvavitev, so se šteli za obvladljive, poleg tega pa ni bilo mogoče z gotovostjo trditi, da jih je povzročilo zdravilo Defitelio.

Zdravilo Defitelio je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Defitelio še pričakujemo?

Ker je zdravilo Defitelio pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, mora podjetje, ki ga trži, predložiti rezultate potekajoče študije o varnosti zdravila, kadar se to uporablja za preprečevanje venookluzivne bolezni pri odraslih in otrocih, ki so prestali presaditev krvotvornih matičnih celic. Podjetje bo tudi analiziralo podatke o izidih presaditev pri bolnikih z venookluzivno boleznijo, ki so bili zdravljeni z zdravilom Defitelio, in pri tistih, ki s tem zdravilom niso bili zdravljeni.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Defitelio?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Defitelio upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Defitelio stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravljenju Defitelio, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravljenju Defitelio

Za zdravilo Defitelio je bilo 18. oktobra 2013 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej Evropski uniji.

Nadaljnje informacije o zdravljenju Defitelio so na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 10-2019.