



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549584/2018
EMA/H/C/000670

Exjade (*deferasirox*)

Pregled zdravila Exjade in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Exjade in za kaj se uporablja?

Zdravilo Exjade se uporablja za zdravljenje kronične preobremenitve z železom (prevelike količine železa v krvi) pri:

- bolnikov od šestega leta starosti dalje, ki imajo beta talasemijo major (dedno krvno bolezen, pri kateri bolniki nimajo dovolj normalnega hemoglobina v krvi) in ki prejemajo pogoste transfuzije krvi;
- otrocih v starosti od dveh do petih let z beta talasemijo major, ki pogosto prejemajo transfuzije krvi, kadar deferoksamina (drugega zdravila, ki se uporablja za zdravljenje prenasičenosti z železom) ni mogoče uporabljati ali ta ni ustrezen;
- bolnikov z beta talasemijo major od drugega leta starosti dalje, ki transfuzije krvi ne prejemajo redno, kadar deferoksamina ni mogoče uporabljati ali ta ni ustrezen;
- bolnikov od drugega leta starosti dalje, ki imajo različne oblike slabokrvnosti (nizke ravni hemoglobina v krvi) in prejemajo transfuzije krvi, kadar deferoksamina ni mogoče uporabljati ali ta ni ustrezen;
- bolnikov od desetega leta starosti dalje s sindromi od transfuzije neodvisne talasemije, kadar deferoksamina ni mogoče uporabljati ali ta ni ustrezen. Sindromi od transfuzije neodvisne talasemije so krvna obolenja, podobna beta talasemiji major, le da pri njih transfuzije krvi niso potrebne. Pri teh bolnikih pride do preobremenitve z železom zaradi prevelike absorpcije železa iz črevesja.

Zdravilo Exjade vsebuje zdravilno učinkovino deferasiroks.

Kako se zdravilo Exjade uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Exjade je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem kronične preobremenitve z železom.

Na voljo je v obliki filmsko obloženih tablet, disperzibilnih tablet in zrnč. Filmsko obložene tablete je treba pogoltniti z vodo, disperzibilne tablete pa se s tekočino zmešajo v suspenzijo, ki jo bolnik lahko spije. Zrnca se primešajo mehki hrani, kot sta jogurt ali jabolčna kaša, ki jo bolnik lahko poje.



Začetni odmerek zdravila Exjade je odvisen od telesne mase bolnika, oblike zdravila, ki se jemlje, namena uporabe zdravila in preobremenitve z železom. Odmerek se glede na raven železa v krvi prilagodi na tri do šest mesecev.

Zdravilo Exjade se jemlje enkrat na dan ob približno istem času. Disperzibilne tablete je treba jemati na prazen želodec (vsaj 30 minut pred zaužitjem hrane), filmsko obložene tablete in zrnca pa je mogoče vzeti na prazen želodec ali z lahkim obrokom.

Za več informacij glede uporabe zdravila Exjade glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Exjade deluje?

Telo ne more učinkovito odstranjevati železa, presežek železa pa lahko povzroči okvaro. Zdravilna učinkovina v zdravilu Exjade, deferasiroks, je „kelator železa“. Veže se na odvečno železo v telesu in tvori „kelat“, ki ga telo lahko izloči, in sicer pretežno z blatom. To pomaga odpravljati preobremenjenost z železom in preprečevati okvare organov, kot so srce in ledvice, zaradi odvečnega železa.

Kakšne koristi je zdravilo Exjade izkazalo v študijah?

Pri kronični preobremenitvi z železom zaradi transfuzij krvi so v eni glavni študiji zdravilo Exjade primerjali z deferoksaminom pri 591 bolnikih z beta talasemijo major. Približno polovica jih je bilo mlajših od 16 let, 56 pa mlajših od šest let. Učinkovitost so merili z opazovanjem ravni železa v jetrih pred enoletnim zdravljenjem z zdravili in po njem. Raven železa se je zadovoljivo zmanjšala pri 53 % bolnikov, ki so prejeli zdravilo Exjade, v primerjavi s 66 % bolnikov, ki so prejeli deferoksamin. Zdravilo Exjade v splošnem ni bilo tako učinkovito kot primerjalno zdravilo. Vendar sta bili pri 381 bolnikih, ki so imeli posebno visoke ravni železa na začetku študije in so prejeli primerljive količine zdravila Exjade in deferoksamina, obe zdravili enako učinkoviti.

Dodatna študija je vključevala 184 bolnikov, ki niso mogli jemati deferoksamina, med katerimi so bili bolniki z beta talasemijo major in drugimi vrstami slabokrvnosti. Pri več kot polovici teh bolnikov, vključno z bolniki, starimi od dve do pet let, je bila raven železa po enem letu zdravljenja z zdravilom Exjade zadovoljivo nižja.

V nadaljnji glavni študiji, v katero je bilo vključenih 166 bolnikov, ki so bili starih 10 let ali več (vključno z 21 bolniki, starimi od 10 do 18 let) in so imeli sindrome od transfuzije neodvisne talasemije ter preobremenitev z železom, je bilo zdravilo Exjade učinkovitejše od placeba (zdravila brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba ravni železa v jetrih po 12 mesecih zdravljenja. Pri bolnikih, ki so bili zdravljeni z zdravilom Exjade, se je raven železa v jetrih povprečno zmanjšala za 3,8 mg na gram jeter, v primerjavi s povprečnim povečanjem za 0,4 mg na gram jeter pri bolnikih, zdravljenih s placebom.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Exjade?

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Exjade (ki se pojavijo pri več kot 1 bolniku od 10) je zvišana raven kreatinina (označevalca težav z ledvicami) v krvi. Drugi pogosti neželeni učinki (ki se pojavijo pri največ 1 bolniku od 10) so navzeja (slabost), bruhanje, driska, prebavne težave, bolečine v trebuhu, zaprtost, glavobol, izpuščaji, srbenje, zvišane ravni transaminaz pri preiskavah krvi (ki bi lahko kazale na okvaro jeter) in beljakovine v urinu. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Exjade, glejte navodilo za uporabo.

Pri zdravljenju z zdravilom Exjade so poročali o primerih odpovedi ledvic in jeter. Pred začetkom zdravljenja z zdravilom Exjade in v rednih intervalih med njim je treba opraviti preskuse delovanja ledvic in jeter. Od teh testov je odvisno, ali se bo zdravljenje morda ustavilo ali opustilo.

Pri zdravljenju z zdravilom Exjade so poročali tudi o primerih metabolične acidoze (kadar organ proizvaja več kisline, kot jo izloča), in sicer zlasti pri bolnikih z okvaro ledvic. Pri bolnikih, ki razvijejo to klinično stanje, je treba zdravljenje z zdravilom Exjade prekiniti.

Bolniki z očistkom kreatinina, manjšim od 60 ml na minuto, ne smejo jemati zdravila Exjade. Zdravilo se ne sme uporabljati v kombinaciji z drugimi kelatorji železa. Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Exjade odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Exjade večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

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

Družba, ki izdeluje zdravilo Exjade, mora izdati izobraževalno gradivo za zdravstvene delavce. Namen tega gradiva je seznaniti jih s tveganji in priporočili v zvezi z zdravilom Exjade, vključno z izbiro ustreznega odmerka, s tem, da se odmerki za disperzibilne tablete razlikujejo od odmerkov za filmsko obložene tablete in zrnca, ter dejstvom, da je treba spremljati bolnikovo zdravje, zlasti delovanje ledvic. Družba bo podobno gradivo pripravila tudi za bolnike.

Družba bo opravila tudi naslednje študije: študijo dolgoročnih učinkov filmsko obloženih tablet in disperzibilnih tablet pri otrocih z od transfuzije neodvisno talasemijo, starejših od 10 let, in študijo za proučitev varnosti filmsko obloženih tablet (zlasti, če so zdrobljene) pri otrocih.

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

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

Druge informacije o zdravilu Exjade

Za zdravilo Exjade je bilo 28. avgusta 2006 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Exjade 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 07-2018.