



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/117234/2023
EMA/H/C/004751

Trecondi (*treosulfan*)

Pregled zdravila Trecondi in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Trecondi in za kaj se uporablja?

Trecondi je zdravilo, ki se daje bolnikom pred presaditvijo kostnega mozga darovalca, znano kot „presaditev alogenih krvotvornih matičnih celic“. Uporablja se kot pripravljeno zdravljenje za čiščenje bolnikovega kostnega mozga in ustvarjanje prostora za presajene celice kostnega mozga, ki lahko nato tvorijo zdrave krvne celice.

Zdravilo Trecondi se uporablja skupaj z zdravilom, imenovanim fludarabin, pri odraslih in otrocih, starejših od enega meseca, s krvnim rakom ali drugimi hudimi boleznimi, pri katerih je potrebna presaditev kostnega mozga.

Učinkovina v zdravilu Trecondi je treosulfan.

Presaditev krvotvornih matičnih celic je redek poseg, zato je bilo zdravilo Trecondi 23. februarja 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu304186.

Kako se zdravilo Trecondi uporablja?

Zdravilo Trecondi se daje kot dvourni infuzija (kapalna infuzija) v veno. Bolnik prejema zdravilo Trecondi enkrat na dan tri dni zapored pred presaditvijo. Fludarabin se daje enkrat na dan pet dni zapored pred presaditvijo.

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, njegovo uporabo pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje s pripravljanim zdravljenjem pred presaditvijo alogenih krvotvornih matičnih celic.

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

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.

Kako zdravilo Trecondi deluje?

Učinkovina v zdravilu Trecondi, treosulfan, spada v skupino zdravil, ki se imenujejo alkilirajoča sredstva. Treosulfan se v telesu pretvori v druge spojine, imenovane epoksidi, ki uničujejo celice, zlasti tiste, ki se hitro razvijajo, kot so celice kostnega mozga. Epoksidi delujejo tako, da se pritrdijo na DNK celic med njihovo delitvijo. Tako lahko zdravilo Trecondi uniči celice v bolnikovem kostnem mozgu in ustvari prostor za nove celice darovalca.

Kakšne koristi zdravila Trecondi so se pokazale v študijah?

V treh glavnih študijah je bilo dokazano, da je zdravilo Trecondi vsaj tako učinkovito kot busulfan, tj. drugo zdravilo, ki se uporablja za pripravo bolnikov na presaditev krvotvornih matičnih celic.

V prvi študiji, v katero je bilo vključenih 570 odraslih z akutno mieloično levkemijo (krvnim rakom) ali mielodisplastičnimi sindromi (bolezni, pri katerih se proizvaja veliko število nenormalnih krvnih celic), je 64 % bolnikov, ki so prejeli zdravilo Trecondi (v kombinaciji s fludarabinom), prestalo uspešno presaditev ter so po dveh letih še živeli in niso več imeli bolezni, v primerjavi z 51 % bolnikov, ki so prejeli busulfan (v kombinaciji s fludarabinom).

V drugi študiji, v katero je bilo vključenih 70 otrok s krvnim rakom, je 99 % tistih, ki so prejeli zdravilo Trecondi (skupaj s fludarabinom), še živelo tri mesece po presaditvi; 91 % otrok je bilo živih po enem letu, 84 % pa po treh letih.

V dodatni študiji, v katero je bil vključen 101 otrok z drugimi hudimi obolenji, ki zahtevajo presaditev kostnega mozga, v treh mesecih po presaditvi nobeden od 51 otrok, ki so prejeli zdravilo Trecondi, ni umrl zaradi vzrokov, povezanih s presaditvijo, v primerjavi s petimi otroki od 50, ki so prejeli busulfan (skupaj s fludarabinom). Eno leto po presaditvi je bilo živih 96 % otrok, ki so prejeli zdravilo Trecondi, in 88 % otrok, ki so prejeli busulfan.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Trecondi?

Najpogostejši neželeni učinki pri odraslih in otrocih z zdravilom Trecondi (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so okužbe, navzeja (siljenje na bruhanje), stomatitis (vnetje ustne sluznice), bruhanje in driska. Utrujenost, febrilna nevtropenija (nizko število belih krvnih celic z zvišano telesno temperaturo) in visoke ravni bilirubina v krvi (razgradnega produkta rdečih krvnih celic) so opaženi tudi pri več kot 1 od 10 odraslih, toksičnost za jetra in zvišanje ravni določenih jetrnih encimov v krvi, bolečine v trebuhu, srbenje in zvišana telesna temperatura pa se lahko pojavijo tudi pri več kot 1 od 10 otrok.

Pogosti neželeni učinki pri odraslih (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 100 bolnikov) so bolečine v trebuhu, zmanjšan tek, izpuščaj, srbenje, izpadanje las, zvišana telesna temperatura, edem (otekanje zaradi zadrževanja tekočine) in zvišanje ravni nekaterih jetrnih encimov v krvi. Pogosti neželeni učinki pri otrocih (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 bolniku od 100) so utrujenost, febrilna nevtropenija, izpuščaj, izpadanje las in zvišane ravni bilirubina v krvi.

Zdravilo Trecondi se ne sme uporabljati pri bolnikih z aktivno, nenadzorovano okužbo, s težko sočasno okvaro srca, pljuč, jeter ali ledvic, ter pri bolnikih s Fanconijevo anemijo in drugimi boleznimi popravljanja prelomov DNK. Zdravila Trecondi ne smejo jemati nosečnice, bolniki, ki jemljejo zdravilo Trecondi, pa se ne smejo cepiti z živimi cepivi.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je zdravilo Trecondi odobreno v EU?

Zdravilo Trecondi je učinkovito pri pripravi odraslih in otrok na presaditev krvotvornih matičnih celic.

Neželeni učinki zdravila Trecondi so obvladljivi in primerljivi s tistimi, ki se pojavljajo pri busulfanu. Zdravilo Trecondi je tako kot busulfan namenjeno pripravljalnemu zdravljenju z „zmanjšano intenzivnostjo“: to pomeni, da je manj strupeno kot standardna pripravljalna zdravljenja, ki temeljijo na kemoterapiji z obsevanjem ali brez obsevanja.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Trecondi 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 Trecondi?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Trecondi 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 Trecondi stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Trecondi, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Trecondi

Za zdravilo Trecondi je bilo 20. junija 2019 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Trecondi so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/trecondi.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 02-2023.