



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Defitelio (*defibrotid*)

Sammanfattning av Defitelio och varför det är godkänt inom EU

Vad är Defitelio och vad används det för?

Defitelio är ett läkemedel som används för behandling av allvarlig venös ocklusiv leversjukdom (VOD) hos patienter som genomgår hematopoetisk (blod-) stamcellstransplantation. VOD är en sjukdom som gör att venerna i levern täpps till och levern slutar att fungera som den ska. Defitelio ges till vuxna och barn från en månads ålder.

Defitelio innehåller den aktiva substansen defibrotid.

VOD är sällsynt och Defitelio klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 29 juli 2004. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Hur används Defitelio?

Defitelio är receptbelagt och måste förskrivas och ges av läkare som har erfarenhet av hanteringen av komplikationer efter blodstamcellstransplantation. Det ges genom infusion (dropp) i en ven under två timmar fyra gånger om dagen. Dosen beror på patientens kroppsvikt. Behandlingen ska pågå i minst tre veckor och fortsätta tills patienten inte längre har några symtom. För att få mer information om hur du använder Defitelio, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Defitelio?

VOD är vanligtvis en komplikation till följd av en behandling som kallas "myeloablativ kemoterapi", som ges inför blodstamcellstransplantation. Myeloablativ kemoterapi används för att slå ut cellerna i patienternas benmärg innan de får friska stamceller. Läkemedlen som används för denna behandling kan skada den invändiga beklädnaden i leverns blodkärl och leda till den proppbildning och tilltäppning av kärlen som ses vid VOD.

Den aktiva substansen i Defitelio, defibrotid, verkar genom att öka nedbrytningen av blodproppar. Dessutom kan defibrotid skydda cellerna i blodkärlens invändiga beklädnad.

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



Vilka fördelar med Defitelio har visats i studierna?

Allvarlig VOD har hög dödlighet på 75 procent eller högre. I en huvudstudie på 102 patienter med allvarlig VOD efter blodstamcellstransplantation jämfördes Defitelio med tidigare register över patienter som hade fått understödjande standardvård. Defitelio minskade dödligheten till 62 procent 100 dagar efter transplantationen, och 24 procent av patienterna hade inga symtom på allvarlig VOD efter 100 dagar.

Fördelarna med Defitelio sågs också i data från ett patientregister i USA (information om patienterna samlades in på standardsättet), där patienter med allvarlig VOD efter blodstamcellstransplantation som fick Defitelio plus standardvård hade bättre resultat än de som endast fick standardvård, inräknat högre överlevnadstal vid dag 100 (39 procent mot 31 procent) och en högre andel patienter vars VOD gick tillbaka (51 procent mot 29 procent).

Vilka är riskerna med Defitelio?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Defitelio är hypotoni (lågt blodtryck) och blödning. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Defitelio finns i bipacksedeln.

Defitelio får inte användas tillsammans med andra läkemedel som löser upp blodproppar. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Defitelio godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Defitelio är större än riskerna och att Defitelio kan godkännas för försäljning i EU. Defitelio hade visats förbättra överlevnaden för patienter med allvarlig VOD. Även om det inte var möjligt att utföra en studie med direkt jämförelse mellan Defitelio och placebo (overksam behandling) hade företaget tillräckliga data för att visa att överlevnadschanserna hade ökat hos patienter som behandlades med läkemedlet. De biverkningar som sågs, t.ex. blödningar, ansågs hanterbara och det var inte möjligt att med säkerhet fastställa om de orsakades av Defitelio.

Defitelio har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Defitelio eftersom sjukdomen är sällsynt. Läkemedelsmyndigheten går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Defitelio saknas för närvarande?

Eftersom Defitelio har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall" måste företaget som marknadsför läkemedlet lämna in resultaten från en pågående studien om läkemedlets säkerhet vid användning för att förebygga VOD hos vuxna och barn som genomgår hematopoetisk stamcellstransplantation. Företaget kommer också att analysera data om transplantationsresultat hos VOD-patienter som har och inte har behandlats med Defitelio.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Defitelio?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Defitelio har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Defitelio kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Defitelio utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Defitelio

Den 18 oktober 2013 beviljades Defitelio ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Defitelio finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 10-2019.