



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/117235/2023
EMA/H/C/004751

Trecondi (*treosulfan*)

Sammanfattning av Trecondi och varför det är godkänt inom EU

Vad är Trecondi och vad används det för?

Trecondi är ett läkemedel som ges till patienter inför "allogen hematopoetisk stamcellstransplantation", en typ av transplantation av benmärgsceller från en donator. Läkemedlet används som en konditioneringsbehandling för att "rensa" patientens benmärg och bereda plats för de benmärgsceller som ska transplanteras och som sedan kan framställa friska blodkroppar.

Trecondi ges tillsammans med ett läkemedel som kallas fludarabin till vuxna och barn från en månads ålder som har blodcancer eller andra allvarliga sjukdomar som kräver benmärgstransplantation.

Den aktiva substansen i Trecondi är treosulfan.

Hematopoetiska stamcellstransplantationer är sällsynta och Trecondi klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 23 februari 2004. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns här: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu304186

Hur används Trecondi?

Trecondi ges som en två timmar lång infusion (dropp) i en ven. Patienten får Trecondi en gång dagligen under de tre dagar som föregår transplantationen. Fludarabin ges en gång dagligen under de fem dagar som föregår transplantationen.

Läkemedlet är receptbelagt och behandling med Trecondi måste övervakas av en läkare med erfarenhet av konditioneringsbehandlingar inför allogena hematopoetiska stamcellstransplantationer.

För mer information om hur du använder Trecondi, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Trecondi?

Den aktiva substansen i Trecondi, treosulfan är ett läkemedel som kallas "alkylerande medel". I kroppen omvandlas treosulfan till andra föreningar som kallas epoxider och som dödar celler, särskilt

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.

sådana som utvecklas snabbt, till exempel benmärgsceller. Epoxider verkar genom att binda till cellernas DNA medan de delar sig. På så sätt kan Trecondi döda celler i patientens benmärg och skapa utrymme för de nya cellerna från en donator.

Vilka fördelar med Trecondi har visats i studierna?

Tre huvudstudier visade att Trecondi är minst lika effektivt som busulfan, ett annat läkemedel för förberedande behandling av patienter som ska genomgå hematopoetisk stamcellstransplantation.

I en av studierna, som omfattade 570 vuxna patienter med akut myeloisk leukemi (en typ av blodcancer) eller myelodysplastiska syndrom (ett tillstånd där ett stort antal onormala blodkroppar produceras), genomgick 64 procent av patienterna som fick Trecondi (med fludarabin) en lyckad transplantation och var vid liv och sjukdomsfria när två år hade gått efter transplantationen, jämfört med 51 procent av patienterna som fick busulfan (med fludarabin).

I en annan studie på 70 barn med blodcancer levde 99 procent av barnen som fick Trecondi (med fludarabin) tre månader efter transplantationen; 91 procent av barnen levde efter ett år och 84 procent efter tre år.

I en kompletterande studie på 101 barn med andra allvarliga sjukdomar som krävde en benmärgstransplantation hade inget av de 51 barn som fick Trecondi avlidit av orsaker kopplade till transplantationen under tre månader efter ingreppet, jämfört med 5 av 50 barn som fick busulfan (med fludarabin). Ett år efter transplantationen levde 96 procent av barnen som fick Trecondi och 88 procent av dem som fick busulfan.

Vilka är riskerna med Trecondi?

De vanligaste biverkningarna hos vuxna och barn som orsakas av Trecondi (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är infektioner, illamående, stomatit (inflammation i munslemhinnan), kräkningar och diarré. Trötthet, febril neutropeni (lågt antal vita blodkroppar med feber) och höga nivåer av bilirubin i blodet (en nedbrytningsprodukt av röda blodkroppar) ses också hos fler än 1 av 10 vuxna, och levertoxicitet och en ökning av nivåerna av vissa leverenzymmer, buksmärta (magont), klåda och feber kan också drabba fler än 1 av 10 barn.

Vanliga biverkningar hos vuxna (kan förekomma hos fler än 1 av 100 användare) är buksmärta, minskad aptit, hudutslag, klåda, håravfall, feber, ödem (svullnad på grund av vätskeansamling) och ökade nivåer av vissa leverenzymmer i blodet. Vanliga biverkningar hos barn (kan förekomma hos fler än 1 av 100 användare) är trötthet, febril neutropeni, utslag, håravfall och höga halter av bilirubin i blodet.

Trecondi får inte ges till patienter med aktiva, okontrollerade infektioner, svåra hjärt-, lung-, lever- och njurproblem eller med fanconianemi eller andra tillstånd som begränsar kroppens förmåga att reparera skadat DNA. Gravida kvinnor får inte använda Trecondi och levande vacciner får inte ges till patienter som tar Trecondi.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Trecondi godkänt i EU?

Trecondi är effektivt när det gäller att förbereda vuxna och barn för hematopoetisk stamcellstransplantation.

Biverkningarna av Trecondi är hanterbara och jämförbara med dem som busulfan ger. Liksom i fallet busulfan klassas Trecondi som en konditioneringsbehandling med låg intensitet. Detta innebär att den

är mindre toxisk än konditioneringsbehandlingar av standardtyp, som baseras på cellgiftsbehandling med eller utan strålbehandling.

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann därför att fördelarna med Trecondi är större än riskerna och att Trecondi kan godkännas för försäljning i EU.

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

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

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

Mer information om Trecondi

Den 20 juni 2019 beviljades Trecondi ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Trecondi finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 02-2023.