

2022-06-13

Defitelio (defibrotidas): nevartokite venų okliuzinės ligos (VOL) profilaktikai po alogeninių kraujodaros kamieninių ląstelių persodinimo (KKLP)

Gerb. sveikatos priežiūros specialiste,

Gentium S.r.l kartu su Europos vaistų agentūra ir Valstybine vaistų kontrolės tarnyba prie SAM norėtų Jus informuoti apie toliau išdėstytą dalyką.

Santrauka

- **Tyrimas 15-007, lyginantis defibrotido ir geriausios palaikomosios priežiūros (GPP) derinį su vien tik GPP kaip VOL profilaktiką po KKLP, buvo nutrauktas, nes tapo bevaisis**
- **Jokio poveikio pagrindinei vertinamajai baigčiai, t.y. išgyvenamumui iki 30-osios dienos po KKLP sergant VOL, nebuvo pastebėta**
- **Defitelio negalima vartoti VOL profilaktikai**

Pagrindimas

Defibrotidas yra oligonukleotidų mišinys, turintis antitrombozinį, fibrinolizinį, antiadhezinį ir priešuždegiminį poveikį. 2013 m. prekinio pavadinimu Defitelio jis išimtinėmis sąlygomis buvo patvirtintas sunkios kepenų venų okliuzinės ligos (VOL), dar vadinamos sinusoidinės kepenų obstrukcijos sindromu (SKOS), gydymui, kai atliekamas kraujodaros kamieninių ląstelių persodinimas (KKLP). Jis skirtas suaugusiesiems, paaugliams, vaikams ir vyresniems kaip 1 mėnesio kūdikiams.

Profilaktinio gydymo tyrimo (15-007 tyrimas), kuriame dalyvavo vaikai (n = 198) ir suaugusieji (n = 174) po KKLP, metu buvo vartojama Defitelio 25 mg/kg per parą dozė leidžiant ją į veną. Dažniausiai pirminė pacientų liga buvo ūminė limfoblastinė leukemija (n = 100) 26,9 %, ūminė mielogeninė leukemija (n = 96) 25,8 % arba neuroblastoma (n = 57) 15,3 %.

Pacientai atsitiktinės atrankos būdu buvo suskirstyti į defibrotido ir geriausios palaikomosios priežiūros (GPP) derinio ir vien tik GPP gydymo grupes.

Tyrimas buvo nutrauktas, nes tapo beprasmiškas. Pagrindinė vertinamoji baigtis, t.y. išgyvenamumas be VOL po KKLP iki 30-sios dienos, nebuvo pasiekta. Nepastebėta jokio skirtumo, taikant gydymą defibrotido ir GPP deriniu ir vien tik GPP. Kaplan-Meier įverčiai (95 % PI) išgyvenamumui be VOL iki 30-osios dienos po KKLP buvo atitinkamai 66,8 % (57,8 %; 74,4 %) defibrotido ir GPP derinio grupėje ir 72,5 % (62,3 %; 80,4 %) vien tik GPP grupėje. Stratifikuoto log rango testo, kuriuo lygintas išgyvenamumas be VOL per tam tikrą laiko tarpą tarp dviejų gydymo grupių, p vertė buvo 0,8504.

Iki 30-osios dienos po KKLK defibrotido ir GPP derinio grupėje mirė 10 iš 190 pacientų arba 5,7 %, o vien tik GPP grupėje – 5 iš 182 pacientų arba 2,9 %. Defibrotido ir GPP derinio ir vien tik GPP grupių dalyviams dėl gydymo atsiradusių nepageidaujamų reiškinių (DGANR) dažnis buvo panašus (atitinkamai 99,4 % ir 100 %) ir sunkių DGANR atitinkamai 40,9 % ir 35,1 %.

Jau gerai nustatytas defibrotido saugumo profilis gydant VOL yra pasireiškiantis kraujavimas (įskaitant ir kraujavimą iš virškinamojo trakto, plaučių ir nosies) ir hipotenzija. Defibrotidas didina kraujavimo riziką, todėl, pasireiškus stipriam kraujavimui, jo vartojimą reikia laikinai arba visiškai nutraukti.

Atsižvelgiant į šiuos rezultatus bei į saugumo duomenis, Defitelio nerekomenduojama naudoti VOL profilaktikai.

Prašymas pranešti

Sveikatos priežiūros specialistų prašoma pranešti apie bet kokias įtariamas nepageidaujamas reakcijas, susijusias su Defitelio vartojimu, tiesiogiai užpildant pranešimo formą internetu Tarnybos Vaistinių preparatų informacinėje sistemoje <https://vapris.vvkt.lt/vvkt-web/public/nrvSpecialist> arba užpildant Sveikatos priežiūros ar farmacijos specialisto pranešimo apie įtariamą nepageidaujamą reakciją (ĮNR) formą, kuri skelbiama <https://www.vvkt.lt/index.php?1399030386>, ir atsiunčiant ją elektroniniu paštu (adresu NepageidaujamaR@vvkt.lt).


Siekiant pagerinti šio biologinio vaistinio preparato atsekamumą, reikia aiškiai užrašyti paskirto vaistinio preparato pavadinimą ir serijos numerį paciento ligos istorijoje ir nurodyti juos pranešant apie bet koki įtariamą nepageidaujamą poveikį.

Įmonės kontaktinis asmuo

Jazz Pharmaceuticals Ireland Limited
Tel. +353 1 968 1631
(vietinis telefono numeris Airijos Respublikoje)
(už Airijos Respublikos ribų gali būti taikomas tarptautinių telefono skambučių mokestis)
El. paštas medinfo-int@jazzpharma.com

ProPharma Group (Medical Information Vendor/Call Center for Jazz Pharmaceuticals, Inc.)
Olliver Road
Richmond
North Yorkshire
DL10 5HX
Jungtinė Karalystė

Pagarbiai,



Dr Nora Drove, MD, MCB, MBA
VP Medical Affairs, Europe and International,
Jazz Pharmaceuticals, Inc.