



Defitelio[®] (defibrotide) na UE: Informações sobre um Registo de doentes

▼ Este medicamento está sujeito a monitorização adicional

Autorização de Introdução no Mercado (AIM) de Defitelio[®] (defibrotide)

Indicações terapêuticas - tratamento da doença veno-oclusiva (DVO) hepática grave, também conhecida como síndrome de obstrução sinusoidal (SOS) na terapêutica de transplante de células estaminais hematopoiéticas (TCEH).

É indicado em adultos, adolescentes, crianças e lactentes com idade superior a um mês.

- Foi concedida a este medicamento uma “Autorização de Introdução no Mercado em circunstâncias excepcionais”. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre este medicamento devido à raridade da doença e por razões éticas que impedem a realização de um estudo controlado por placebo.
- A Agência Europeia de Medicamentos (EMA) procederá à análise de qualquer nova informação que possa estar disponível anualmente sobre o medicamento e, se necessário, à atualização deste RCM.
- O CHMP definiu uma Obrigação Específica a fim de definir um Registo da doença para investigar o resultado a longo prazo e a segurança do medicamento. Os dados de registo serão utilizados como parte da reavaliação anual para a continuação da AIM.

Defitelio[®] Obrigação Específica

- ▶ Antes do lançamento, o Titular de Autorização de Introdução no Mercado (TAIM) deve criar um registo de doentes:
 - registo multicêntrico, multinacional, prospetivo, observacional
 - investigar a segurança a longo prazo, os resultados de saúde e os padrões da utilização de defibrotide
 - inclui doentes diagnosticados com doença venosa-oclusiva (DVO) hepática grave após o transplante de células estaminais hematopoiéticas (TCEH)
 - inclui doentes tratados com Defitelio[®], outros tratamentos ou cuidados de suporte
 - recolhe informações sobre os resultados de segurança específicas identificados

Registo da doença

- ▶ A Gentium SpA tem colaborado com o Grupo Europeu de Transplantes de Sangue e de Medula (EBMT) na criação e gestão de um registo da doença
- ▶ O Registo irá funcionar através da EBMT que atuará como Organização Responsável pela gestão e monitorização dos dados recolhidos.
- ▶ Este Registo:
 - Concentrar-se-á nos locais participantes seleccionados (onde se realizam > 100 transplantes/ano)
 - Decorrerá até junho de 2018
 - Pretende recrutar 300 doentes tratados com defibrotide, 300 doentes monitorizados através de cuidados de suporte (grupo de controlo)
 - Recolherá dados sobre eventos adversos graves (EAG), *endpoints* relacionados com o resultado clínico e informação de base padrão

Aprovação e início do Registo da doença

- ▶ O protocolo para o Registo foi aprovado pelo Comité de Avaliação do Risco em Farmacovigilância (PRAC) da EMA em março de 2014.
- ▶ Os materiais educacionais para os profissionais de saúde sobre a existência deste registo e a informação sobre os meios para incluir doentes neste foram revistos e aprovados pelas autoridades reguladoras nacionais dos países selecionados para o registo
- ▶ o EBMT encontra-se recetivo para incluir outros centros para além dos selecionados que possam desejar contribuir com dados.
- ▶ ***Pode ser necessária uma aprovação a nível europeu e nacional para a participação de locais adicionais***

Sensibilização para o Registo de doentes

- ▶ Outra condição da autorização é:

“...garantir que todos os profissionais de saúde que possam prescrever Defitelio[®] são detentores de informações sobre a importância do registo, e como dar entrada do registo dos pacientes”

- ▶ Para cumprir esta condição serão utilizados os seguintes documentos :

- Comunicações aos médicos prescritores sobre o Registo que serão enviadas a todos os centros de transplante do EBMT juntamente com protocolo/sinopse;

- Folhetos com informações do registo que serão disponibilizados nas reuniões científicas e nos congressos;

- Uma **guideline para o preenchimento** do CRF que será fornecido a todos os médicos que darão entrada dos doentes no registo;

- Uma **guideline** para preenchimento do formulário de notificação dos EAG para todos os médicos que darão entrada dos doentes no registo

- Um conjunto de slides para ser utilizado durante as visitas para informar os médicos sobre a existência do registo e o modo de incluir os doentes

Recolha de Dados para o Registo da doença

- ▶ Documentação destinada aos locais participantes:
 - Formulário de Registo; Identificação Centro/doente
 - Formulário de Recolha de Dados; / Características da doença primária/linha base; características clínicas DVO/FMO; e administração Defitelio®
 - Ficha de acompanhamento no dia +100; pós-TCT 6-meses e 12-meses
 - ▶ Estado de sobrevivência; (em caso de morte, principal causa de morte)
 - ▶ Resposta Clínica DVO
 - ▶ A incidência de outras complicações pós-transplante (por exemplo, DECH)
 - Notificação/Comunicação dos EAG (com foco específico de interesse dos EAG)
 - ▶ Todos os eventos adversos graves (EAG) devem ser comunicados a todos os doentes
 - ▶ Os EAG serão notificados independentemente do doente receber Defitelio®; e independente da causalidade atribuída
 - ▶ Todos os EAG devem ser comunicados à Gentium PV dentro de 24 horas

Contactos para mais informações

Para mais informações sobre o Registo entre por favor em contacto com Emmanuelle Polge, Diretor de Operações EBMT, via email em:

Emmanuelle.polge@upmc.fr

Ou

DFVOD-2013-03-REG@gentium.it

Ou

info@gentium.it

Ou (em Portugal)

joana@pamareis.com