

Public Summary SwissPAR vom 13.04.2021

## Defitelio<sup>®</sup> (Wirkstoff: Defibrotid)

Erstzulassung in der Schweiz: 21.09.2020

Arzneimittel (Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung) zur Behandlung von schwerer hepatischen venookklusiven Erkrankung

---

### Über das Arzneimittel

Das Arzneimittel Defitelio mit dem Wirkstoff Defibrotid ist ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung.

Es wurde zur Behandlung einer schweren hepatischen veno-okklusiven Erkrankung zugelassen, die auch als sinusoidales Obstruktionsyndrom (Durchblutungsstörung der kleinen Lebervenen) bezeichnet wird. Es kann bei Patientinnen und Patienten im Alter von mindestens einem Monat angewendet werden.

Eine hepatische veno-okklusive Erkrankung betrifft die Leber und ist eine lebensbedrohliche Komplikation bei Behandlungen die durchgeführt werden, um den Körper von

Patientinnen und Patienten auf eine Blutstammzelltransplantation vorzubereiten. Diese Komplikation kann zum Versagen verschiedener lebenswichtiger Organe führen und endet bei 20-30 Prozent der Patientinnen und Patienten tödlich. Bei Kindern ist das Risiko grösser.

Da es sich bei dieser Krankheit um eine seltene Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet, die spezielle Nachweise erfüllen. Solche Arzneimittel profitieren von vereinfachten Zulassungsbedingungen in der Schweiz.

---

### Hinweise zur Zulassung

Für die Beurteilung des Zulassungsgesuchs für das Arzneimittel Defitelio mit dem Wirkstoff Defibrotid hat Swissmedic die Beurteilung der kanadischen Behörde (Health Canada), der europäischen Arzneimittelagentur (EMA) sowie der amerikanischen Behörde (FDA) berücksichtigt. Als Grundlage für die Bewertung der klinischen Daten dienen die Beurteilungsberichte der EMA sowie der FDA sowie die entsprechenden Produktinformationen.

Swissmedic hat Defitelio am 21. September 2020 in der Schweiz zugelassen.

Für nähere Informationen zum vorliegenden Zulassungsgesuch verweist Swissmedic auf die Zulassung des ausländischen Vergleichspräparates.

Da die Bewertung der klinischen Daten auf der Grundlage der Beurteilungsberichte der ausländischen Partnerbehörden erfolgte, liegen die Voraussetzungen für einen

SwissPAR (Swiss Public Assessment Report) und einen darauf aufbauenden Public Summary SwissPAR nicht vollständig vor. Swiss-

medic verweist auf die Zulassung des ausländischen Vergleichspräparates.

[www.hc-sc.gc.ca](http://www.hc-sc.gc.ca)

[www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

[www.fda.gov](http://www.fda.gov)

---

## Weitere Informationen zum Arzneimittel

---

Informationen für medizinisches Fachpersonal: [Fachinformation Defitelio®](#)

Weitere Fragen beantwortet das medizinische Fachpersonal (Arzt/Ärztin, Apotheker/Apothekerin und andere)

Der Stand dieser Information entspricht dem oben erwähnten Datum. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Public Summary SwissPAR ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirkung oder die Sicherheit dieses Medikaments beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.