



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 giugno 2021  
EMA/354062/2021EMA/382750/2021  
EMA/H/C/002154/II/0069

## Ritiro della domanda di modifica dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Esbriet (pirfenidone)

Roche Registration GmbH ha ritirato la domanda relativa all'uso di Esbriet nel trattamento di pazienti con malattia polmonare interstiziale (interstitial lung disease, ILD) non classificabile.

La ditta ha ritirato la domanda il 19 maggio 2021.

### Che cos'è Esbriet e per che cosa si usa?

Esbriet è un medicinale utilizzato per il trattamento di adulti con fibrosi polmonare idiopatica (Idiopathic Pulmonary Fibrosis, IPF) da lieve a moderata. L'IPF è una malattia di lungo decorso caratterizzata dalla formazione continua di tessuto cicatriziale fibroso nei polmoni, che provoca tosse persistente, frequenti infezioni polmonari e grave dispnea. Il termine "idiopatica" significa che la causa della malattia non è nota.

Esbriet è autorizzato nell'UE dal febbraio 2011.

Contiene il principio attivo pirfenidone ed è disponibile in capsule e compresse da assumere per via orale.

Maggiori informazioni sugli usi attuali di Esbriet sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esbriet](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esbriet).

### Quale modifica aveva richiesto la ditta?

La ditta aveva richiesto di estendere l'uso di Esbriet al trattamento di pazienti con ILD non classificabile. L'ILD è un gruppo di malattie che provocano la formazione di tessuto cicatriziale nei polmoni. In circa il 10 % dei pazienti la malattia presenta caratteristiche che non ne consentono la classificazione come un sottogruppo specifico di ILD e viene pertanto denominata ILD non classificabile.

### Come agisce Esbriet?

Sebbene pirfenidone, il principio attivo di Esbriet, abbia un meccanismo d'azione ancora non del tutto compreso, è stato evidenziato che riduce la produzione di fibroblasti e di altre sostanze che



contribuiscono alla formazione di tessuto fibroso (cicatrizziale) durante il processo di riparazione tissutale dell'organismo, rallentando in tal modo la progressione della malattia nei pazienti con IPF.

Nella ILD non classificabile Esbriet dovrebbe agire come nell'indicazione esistente.

### Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale su 253 pazienti con ILD non classificabile, ai quali è stato somministrato Esbriet o placebo (un trattamento fittizio). La misura principale dell'efficacia era la variazione della funzionalità polmonare dei pazienti dopo 24 settimane di trattamento, espressa dalla "capacità vitale forzata" (FVC). La FVC è il volume totale d'aria che il paziente è in grado di espirare in maniera forzata dopo una profonda inspirazione; tale volume diminuisce con il peggiorare della malattia.

### A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni iniziali fornite dalla ditta e le aveva presentato una serie di domande. Al momento del ritiro la ditta non aveva risposto alle domande.

### Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?

In base all'esame delle informazioni disponibili, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Esbriet non potesse essere autorizzato per il trattamento della ILD non classificabile. In particolare, l'Agenzia aveva dubbi sulla solidità dei dati e sulla durata dello studio principale. Inoltre, l'Agenzia non concordava con la formulazione dell'indicazione proposta.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia riteneva che i benefici di Esbriet nel trattamento della ILD non classificabile non fossero superiori ai suoi rischi.

### Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che la sua decisione era motivata dalla richiesta da parte dell'Agenzia di ulteriori giustificazioni e dati sull'uso di Esbriet nell'indicazione proposta.

### Il ritiro della domanda influisce sui pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Esbriet.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico dello studio clinico.

### Che cosa succede nel caso di Esbriet usato per il trattamento di altre patologie?

Non vi sono conseguenze per l'uso di Esbriet nel trattamento dell'IPF.