



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/446082/2020
EMA/H/C/004874

Adakveo (*crizanlizumab*)

Sintesi di Adakveo e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Adakveo e per cosa si usa?

Adakveo è un medicinale per la prevenzione delle crisi dolorose nei pazienti con malattia a cellule falciformi di età pari o superiore a 16 anni.

La malattia a cellule falciformi è una condizione genetica in cui i globuli rossi diventano rigidi e appiccicosi e, da una forma a disco, assumono una forma di mezzaluna (tipo falce). Questi possono bloccare il flusso ematico (di sangue) nei vasi sanguigni provocando crisi dolorose che colpiscono petto, addome e altre parti del corpo.

Adakveo può essere utilizzato come terapia aggiuntiva a idrossicarbamide (anche noto come idrossiurea) o da solo in pazienti per i quali idrossicarbamide non è abbastanza efficace o causa troppi effetti indesiderati. Adakveo contiene il principio attivo crizanlizumab.

La malattia a cellule falciformi è rara e Adakveo è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 9 agosto 2012. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121034.

Come si usa Adakveo?

Adakveo è somministrato per infusione (flebo) in vena nell'arco di 30 minuti; la dose dipende dal peso corporeo del paziente. Le prime due infusioni sono somministrate a distanza di due settimane. Successivamente le infusioni sono somministrate ogni 4 settimane.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nel trattamento della malattia a cellule falciformi.

Per maggiori informazioni sull'uso di Adakveo, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Adakveo?

Il principio attivo di Adakveo, crizanlizumab, è un anticorpo monoclonale (un tipo di proteina) concepito per legarsi a una sostanza, P-selectina, presente sulla superficie delle cellule che rivestono i vasi sanguigni. La P-selectina aiuta le cellule ad aderire ai vasi sanguigni ed è un fattore chiave nella

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



vaso-occlusione (ostruzione dei vasi) durante le crisi dolorose nella malattia a cellule falciformi. Legandosi alla P-selectina e bloccandone l'azione, il medicinale contribuisce a prevenire le crisi dolorose.

Quali benefici di Adakveo sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio su 198 pazienti con malattia a cellule falciformi ha mostrato che Adakveo è stato efficace nel ridurre il numero di crisi dolorose. In questo studio, i pazienti trattati con Adakveo hanno registrato in media 1,6 crisi all'anno, mentre i pazienti cui era stato somministrato placebo (un trattamento fittizio) hanno registrato in media 3 crisi all'anno.

Lo studio ha inoltre mostrato che Adakveo ha ridotto il numero annuale di crisi di quasi un terzo nei pazienti che già assumevano idrossicarbamide (2,4 contro 3,6) e di metà nei pazienti che non assumevano idrossicarbamide (1 contro 2).

Quali sono i rischi associati ad Adakveo?

Gli effetti indesiderati più comuni di Adakveo (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono dolore articolare, nausea, dolore dorsale, febbre e dolore addominale. Dolore articolare grave o febbre possono verificarsi in circa 1 persona su 100.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati, vedere il foglio illustrativo.

Perché Adakveo è autorizzato nell'UE?

Lo studio principale ha mostrato che Adakveo è stato efficace nel ridurre il numero di crisi dolorose nei pazienti con malattia a cellule falciformi. Permanevano alcune incertezze sull'entità dell'effetto di Adakveo a causa del modo in cui lo studio è stato concepito, tuttavia i risultati mostravano miglioramenti continui con Adakveo, tra cui una riduzione dei giorni di ospedalizzazione.

Gli effetti indesiderati di Adakveo sono stati relativamente lievi e considerati gestibili. L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Adakveo sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Adakveo ha ottenuto una "autorizzazione subordinata a condizioni". Questo significa che in futuro saranno disponibili ulteriori informazioni sul medicinale, che la ditta è tenuta a fornire. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Adakveo?

Poiché per Adakveo è stata rilasciata un'autorizzazione subordinata a condizioni, la ditta che commercializza Adakveo fornirà ulteriori dati sulla sicurezza e l'efficacia del medicinale tratti da due studi supplementari.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Adakveo?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Adakveo sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Adakveo sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Adakveo sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Adakveo

Ulteriori informazioni su Adakveo sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adakveo

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 09-2020.

Medicinale non più autorizzato