



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244278/2019  
EMA/H/C/004883

## Esproct (*turoctocog alfa pegilato*)

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

### **Cos'è Esproct e per cosa si usa?**

Esproct è un medicinale utilizzato per il trattamento e la profilassi delle emorragie in pazienti affetti da emofilia A, un disturbo emorragico ereditario causato dalla carenza di una proteina di coagulazione denominata fattore VIII. Può essere usato negli adulti e nei bambini a partire dai 12 anni di età.

Esproct contiene il principio attivo turoctocog alfa pegilato.

### **Come si usa Esproct?**

Esproct può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere avviata da un medico esperto nel trattamento dell'emofilia.

Esproct è somministrato con iniezione endovenosa. La dose, la frequenza e la durata della terapia variano a seconda che il medicinale sia utilizzato per il trattamento o la profilassi delle emorragie; inoltre dipendono dalla gravità dell'emofilia, dall'entità e dalla sede dell'emorragia nonché dalle condizioni di salute e dal peso del paziente. I pazienti o le persone che li assistono possono praticare l'iniezione di Esproct autonomamente, a casa, dopo avere ricevuto le opportune istruzioni.

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

### **Come agisce Esproct?**

I pazienti affetti da emofilia A presentano una carenza del fattore VIII, una proteina necessaria per la normale coagulazione del sangue. Di conseguenza, sono soggetti a emorragie. Il principio attivo di Esproct, turoctocog alfa pegilato, agisce nell'organismo allo stesso modo del fattore umano VIII. Sostituendo il fattore VIII mancante, favorisce la coagulazione del sangue e garantisce un controllo temporaneo del disturbo emorragico.

Il principio attivo è costituito in parte da una sostanza chimica denominata polietilenglicole (PEG), che serve a fare rimanere il medicinale nell'organismo per un periodo più lungo, prolungandone in tal modo l'azione.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Quali benefici di Esperoct sono stati evidenziati negli studi?**

È stato dimostrato che Esperoct è efficace nella profilassi e nel trattamento degli episodi emorragici in pazienti con emofilia grave precedentemente trattati con altri medicinali a base di fattore VIII.

In uno studio su pazienti di età compresa tra i 12 e i 66 anni, 175 pazienti trattati con Esperoct ogni 4 giorni o due volte alla settimana a scopo di profilassi hanno avuto, in media, circa 4 episodi emorragici all'anno, raggiungendo l'obiettivo dello studio, che era inferiore a 8,5 episodi all'anno. Quando si sono verificati, gli episodi emorragici sono stati trattati efficacemente con una o due ulteriori iniezioni nel 94 % dei casi.

Altri dodici pazienti che hanno partecipato allo studio hanno ricevuto Esperoct non in profilassi bensì per il trattamento delle emorragie al bisogno. In questi pazienti, che hanno avuto in media circa 32 episodi emorragici all'anno, Esperoct è riuscito a fermare le emorragie nel 97 % dei casi dopo 1 o 2 iniezioni.

In un secondo studio su 68 bambini di età inferiore ai 12 anni, Esperoct in profilassi ha ridotto il numero di episodi emorragici a circa 2 all'anno.

## **Quali sono i rischi associati a Esperoct?**

Con Esperoct possono verificarsi reazioni di ipersensibilità (allergiche) non frequenti (che possono riguardare fino a 1 persona su 100), tra cui tumefazione, bruciore e dolore pungente nel sito di iniezione, brividi, rossore, esantema pruriginoso, cefalea, orticaria, pressione arteriosa bassa, letargia, nausea e vomito, irrequietezza, battito cardiaco rapido, costrizione toracica, formicolio e respiro sibilante. In alcuni casi queste reazioni possono diventare gravi.

Molto raramente i pazienti possono sviluppare anticorpi contro le proteine di criceto contenute nel medicinale e avere reazioni allergiche. Esperoct non deve essere usato nei pazienti allergici alle proteine di criceto.

In seguito al trattamento con medicinali a base di fattore VIII, compreso Esperoct, è possibile che alcuni pazienti sviluppino inibitori (anticorpi) contro tale fattore, che potrebbero rendere inefficace il medicinale, con una conseguente perdita di controllo delle emorragie. In questi casi si raccomanda di rivolgersi a un centro specializzato nel trattamento dell'emofilia.

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

## **Perché Esperoct è autorizzato nell'UE?**

Gli studi hanno riscontrato che Esperoct è efficace nella profilassi e nel trattamento delle emorragie in pazienti con emofilia A. Poiché Esperoct è "pegilato", i pazienti che lo assumono potrebbero anche ricevere iniezioni in numero inferiore o meno frequenti rispetto a quelle necessarie con i prodotti FVIII convenzionali. Tuttavia, a seguito di un trattamento prolungato, parte del principio attivo di Esperoct (denominato PEG) può accumularsi nell'organismo, tra l'altro in una struttura del cervello chiamata plesso corioideo. Poiché tale accumulo potrebbe causare problemi specie nei bambini di età inferiore ai 12 anni, l'uso di Esperoct è approvato esclusivamente negli adulti e nei bambini a partire dai 12 anni di età.

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Esperoct sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

## **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Esperoct?**

La ditta che commercializza Esperoct condurrà uno studio per esaminare i potenziali effetti dell'accumulo di PEG nel plesso corioideo cerebrale e in altri tessuti e organi.

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

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

### **Altre informazioni su Esperoct**

Ulteriori informazioni su Esperoct sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct).