



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/246404/2010
EMA/H/C/001032

Riassunto destinato al pubblico

Firdapse¹

amifampridina

Questo documento è la sintesi di una relazione di valutazione pubblica europea (EPAR) per Firdapse. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Firdapse.

Che cos'è Firdapse?

Firdapse è un medicinale contenente il principio attivo amifampridina. È disponibile in compresse (10 mg).

Per che cosa si usa Firdapse?

Firdapse si usa nel trattamento dei sintomi della sindrome miastenica di Lambert-Eaton (LEMS) negli adulti. La LEMS è una malattia che provoca debolezza muscolare nei pazienti per l'incapacità dei nervi di trasmettere impulsi elettrici ai muscoli.

Poiché il numero di pazienti affetti da LEMS è basso, la malattia è considerata "rara", e Firdapse è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale usato nelle malattie rare) il 18 dicembre 2002.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Firdapse?

La terapia con Firdapse deve essere iniziata esclusivamente sotto il controllo di un medico esperto nel trattamento della LEMS.

La dose iniziale raccomandata di Firdapse è di 15 mg al giorno e può essere aumentata di 5 mg ogni quattro-cinque giorni fino a un massimo di 60 mg al giorno. Firdapse viene assunta in dosi separate,

¹ Previously known as Zenas.



tre o quattro volte al giorno e una dose singola non deve superare i 20 mg. Firdapse deve essere assunta a stomaco pieno.

Come agisce Firdapse?

Per consentire la contrazione dei muscoli, i nervi devono trasmettere loro impulsi elettrici attraverso un messaggero chimico chiamato acetilcolina. L'acetilcolina viene rilasciata dalle terminazioni nervose durante un periodo di "depolarizzazione".

Il principio attivo di Firdapse, amifampridina, è un bloccante dei canali del potassio, che impedisce che le particelle di potassio caricate abbandonino le cellule nervose. Ciò prolunga il periodo di depolarizzazione, concedendo ai nervi più tempo per rilasciare acetilcolina e stimolando in tal modo la contrazione dei muscoli.

Quali studi sono stati effettuati su Firdapse?

Poiché i medicinali contenenti amifampridina sono stati impiegati nell'UE da più di 20 anni, la ditta ha presentato i risultati di studi tratti dalla letteratura scientifica sull'amifampridina a sostegno dell'uso di Firdapse. In due studi pubblicati riguardanti un totale di 38 adulti affetti da LEMS, l'amifampridina è stata messa a confronto con placebo (trattamento fittizio). I parametri principali di efficacia erano basati sulla valutazione del funzionamento dei muscoli tramite un sistema di punteggio, usando o la scala di invalidità neurologica (NDS) o il punteggio quantitativo per la miastenia grave (QMG). I pazienti con bassi punteggi NDS o QMG hanno migliori funzioni muscolari. Un altro studio combinava dati estrapolati da due studi pubblicati e osservava il potenziale d'azione muscolare composto (CMAP). Il CMAP è una misura dell'attività elettrica nei muscoli. Inoltre, è stato studiato l'effetto di Firdapse sull'intervallo QT (l'attività elettrica del cuore).

Quali benefici ha mostrato Firdapse nel corso degli studi?

Firdapse si è dimostrato più efficace del placebo nel trattamento di pazienti affetti da LEMS. In uno studio il punteggio NDS si era ridotto da 40 a 22 punti nei pazienti che assumevano Firdapse, mentre era sceso a 35 punti nei pazienti che assumevano placebo. L'altro studio mostrava una riduzione del punteggio QMG di 2 punti nei pazienti che assumevano Firdapse a fronte di un aumento di 0,25 punti nei pazienti che ricevevano placebo. Nel terzo studio combinato i pazienti che assumevano Firdapse mostravano miglioramenti superiori del CMAP rispetto ai pazienti trattati con placebo. Nello studio del QT, si è osservato che l'amifampridina non aveva effetti sull'attività del cuore, come mostrano gli elettrocardiogrammi di volontari sani che hanno preso parte a questo studio.

Quali sono i rischi associati a Firdapse?

Gli effetti indesiderati più comuni rilevati con Firdapse sono parestesia (sensazioni insolite come spilli e aghi) e disturbi gastrointestinali quali epigastralgia (dolore intorno alla parte superiore dello stomaco), diarrea, nausea e dolore addominale (mal di stomaco).

Firdapse non deve essere utilizzato in pazienti che soffrono di epilessia o in pazienti con asma incontrollata o sindromi congenite del QT (interruzione del battito cardiaco). Non deve essere impiegato con sultopride (un farmaco antipsicotico) o con medicinali che provocano il prolungamento del QTc (un'alterazione dell'attività elettrica del cuore). Inoltre, non deve essere usato con medicinali a basso indice terapeutico. I medicinali a basso indice terapeutico possono facilmente causare effetti indesiderati se somministrati a una dose un po' più alta di quella raccomandata.

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

Perchè è stato approvato Firdapse?

Il CHMP ha deciso che i benefici di Firdapse sono superiori ai rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Firdapse è stato autorizzato in "circostanze eccezionali". Ciò significa che, data la rarità della malattia, non è stato possibile ottenere informazioni complete su Firdapse. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni eventualmente disponibili e, se necessario, questo riassunto sarà aggiornato.

Quali informazioni sono ancora attese per Firdapse?

L'azienda produttrice di Firdapse fornirà ulteriori dati tratti da studi su tumore in modelli sperimentali.

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

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Firdapse sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Firdapse sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Inoltre, è stato richiesto all'azienda che commercializza Firdapse di costituire un registro dei pazienti per quei pazienti affetti da LEMS. L'azienda garantisce che a tutti i professionisti del settore sanitario che potrebbero utilizzare il farmaco saranno fornite informazioni su come inserire i propri pazienti nel registro.

Altre informazioni su Firdapse

Il 23 dicembre 2009 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Zenas, valida in tutta l'Unione europea. Il 28 gennaio 2010 la denominazione del medicinale è stata cambiata in Firdapse.

Per la versione completa dell'EPAR di Firdapse consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Firdapse, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Firdapse è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 04-2014.