



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/429977/2020
EMA/H/C/002284

NovoThirteen (*catridecacog*)

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

Cos'è NovoThirteen e per cosa si usa?

NovoThirteen è un medicinale che previene l'eccessivo sanguinamento in pazienti con un disordine ereditario della coagulazione del sangue denominato "deficit congenito della subunità A del fattore XIII". È usato per prevenire il sanguinamento e per trattare eventuali episodi di sanguinamento che si verificano durante il trattamento preventivo.

NovoThirteen contiene il principio attivo catridecacog.

Come si usa NovoThirteen?

NovoThirteen può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata sotto il controllo di un medico esperto nel trattamento dei disordini rari della coagulazione del sangue.

NovoThirteen è somministrato con un'iniezione in vena. Come prevenzione, è somministrato una volta al mese come trattamento a lungo termine. La dose dipende dal peso del paziente e, a volte, dai livelli del fattore XIII nel sangue. Per trattare un episodio di sanguinamento durante il trattamento preventivo, il paziente riceve un'unica dose in base al proprio peso o, per prevenire il sanguinamento da interventi chirurgici minori, in base ai livelli del fattore XIII.

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

Come agisce NovoThirteen?

Il fattore XIII è una proteina che partecipa al processo di coagulazione del sangue. Una componente specifica del fattore XIII, denominata subunità A, rafforza il coagulo e previene ulteriori sanguinamenti. I pazienti con deficit congenito della subunità A del fattore XIII non possiedono la subunità A in quantità sufficiente oppure quest'ultima non funziona correttamente, il che li espone a un rischio di eccessivo sanguinamento. Il principio attivo contenuto in NovoThirteen, catridecacog, ha la stessa struttura chimica della subunità A del fattore XIII umano. Fornendo la subunità A del fattore XIII, NovoThirteen contribuisce a prevenire il sanguinamento in questi pazienti.



Quali benefici di NovoThirteen sono stati evidenziati negli studi?

NovoThirteen è stato esaminato nell'ambito di uno studio principale cui hanno partecipato 41 pazienti di età superiore a 6 anni con deficit congenito della subunità A del fattore XIII, che erano stati trattati in precedenza con medicinali contenenti il fattore XIII. In media, ogni paziente trattato in via preventiva con NovoThirteen ogni anno ha avuto circa 0,15 episodi di sanguinamento che necessitavano di trattamento con fattore XIII. Al confronto, si sono osservati circa 2,9 episodi all'anno nei pazienti trattati con un altro medicinale contenente il fattore XIII, che era stato somministrato al bisogno per controllare il sanguinamento.

La sicurezza e l'efficacia di NovoThirteen nei 6 bambini di età inferiore a 6 anni sono state evidenziate da dati ottenuti da uno studio a lungo termine durante il quale ai pazienti è stato somministrato NovoThirteen per prevenire il sanguinamento. Nei bambini trattati con NovoThirteen non si sono verificati episodi di sanguinamento.

Un ulteriore studio ha seguito 30 pazienti trattati con NovoThirteen per la prevenzione. Su 6 episodi di sanguinamento causati da lesioni e che necessitavano dell'uso di un medicinale contenente il fattore XIII, 5 sono stati trattati con dosi singole di NovoThirteen con buoni risultati. Il sanguinamento è stato tenuto sufficientemente sotto controllo anche in un paziente trattato con dosi singole di NovoThirteen prima di due interventi chirurgici minori.

Quali sono i rischi associati a NovoThirteen?

L'effetto indesiderato più comune di NovoThirteen (che può riguardare più di 1 persona su 3) è la cefalea. Altri effetti indesiderati comuni (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono leucopenia (bassa conta di globuli bianchi, tra cui i neutrofili che combattono le infezioni), dolore alle braccia e alle gambe, dolore in sede di iniezione, e la presenza nel sangue di anticorpi che si legano al fattore XIII e di piccoli frammenti di proteine denominati "D-dimero della fibrina".

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

Perché NovoThirteen è autorizzato nell'UE?

Dallo studio principale sono emersi risultati soddisfacenti sull'efficacia dell'uso preventivo a lungo termine di NovoThirteen nel deficit congenito della subunità A del fattore XIII, poiché non si sono osservati sanguinamenti gravi o potenzialmente letali durante il trattamento. Inoltre, nei pazienti già sottoposti al trattamento preventivo, l'uso monodose (con dosi singole) di NovoThirteen è risultato efficace nel trattamento degli episodi di sanguinamento. Non sono stati registrati effetti indesiderati importanti con l'uso a lungo termine di NovoThirteen.

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

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

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché NovoThirteen 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 NovoThirteen sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con NovoThirteen sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su NovoThirteen

NovoThirteen ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 3 settembre 2012.

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 08-2020.