



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/654233/2017  
EMA/H/C/02493

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Voncento

fattore VIII della coagulazione umana / fattore di von Willebrand umano

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Voncento. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Voncento.

Per informazioni pratiche sull'uso di Voncento i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

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

Voncento è un medicinale indicato nel trattamento e nella prevenzione dell'emorragia in pazienti con malattia di von Willebrand (un disturbo emorragico ereditario provocato da un deficit del fattore di von Willebrand) quando un altro medicinale denominato desmopressina sia inefficace o controindicato. È usato inoltre nel trattamento e nella prevenzione dell'emorragia in pazienti con emofilia A (un disturbo emorragico ereditario provocato da un deficit del fattore VIII). Contiene due principi attivi, il fattore VIII della coagulazione umana e il fattore di von Willebrand umano.

## Come si usa Voncento?

Voncento può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata da un medico esperto nel trattamento di pazienti con disturbi emorragici.

Voncento è disponibile sotto forma di una polvere e un solvente che, miscelati, formano una soluzione per iniezione o infusione (flebo in vena). L'iniezione o l'infusione di Voncento sono praticate lentamente in vena. Nel caso si verificano effetti indesiderati durante l'iniezione o l'infusione, può essere necessario ridurre la velocità o interrompere la somministrazione. La dose e la durata del trattamento cambiano a seconda che Voncento sia usato per trattare o prevenire un'emorragia o durante un intervento chirurgico e che sia utilizzato in pazienti con emofilia A o malattia di von Willebrand. Esse dipendono inoltre dai livelli del fattore VIII del paziente, dalla gravità della malattia, dall'entità e dalla localizzazione dell'emorragia nonché dalle condizioni e dal peso corporeo del paziente.



Se il medico lo ritiene appropriato e previa istruzioni del caso, i pazienti o le persone che li assistono possono praticare da soli a casa l'iniezione o l'infusione del medicinale. Per ulteriori dettagli, vedere il foglio illustrativo.

## **Come agisce Voncento?**

I principi attivi di Voncento, il fattore VIII della coagulazione umana e il fattore di von Willebrand umano, sono fattori di coagulazione (sostanze che favoriscono la coagulazione del sangue). I pazienti affetti da emofilia A presentano una carenza del fattore VIII e i pazienti affetti dalla malattia di von Willebrand presentano una carenza del fattore Willebrand. Queste condizioni determinano problemi di coagulazione, con conseguente emorragia a livello di articolazioni, muscoli o organi interni. Voncento è usato per sostituire i fattori di coagulazione mancanti, permettendo un temporaneo controllo del disturbo emorragico.

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

Voncento è stato esaminato in uno studio principale su 22 pazienti (fra cui adolescenti) con malattia di von Willebrand grave per valutarne l'efficacia nell'arrestare episodi emorragici non associati a interventi chirurgici o come trattamento preventivo. Voncento non è stato confrontato con un'altra terapia. I pazienti, precedentemente trattati con desmopressina o con il fattore di von Willebrand, nella prima fase dello studio hanno ricevuto Voncento per 12 mesi. L'efficacia di Voncento nell'arrestare l'emorragia è stata misurata mediante una scala di classificazione. Gli effetti di Voncento sono stati valutati eccellenti nel 92 % circa (371 su 405) e buoni nel 7 % circa (27 su 405) degli episodi emorragici. Nella seconda fase di questo studio, che è durata altri 12 mesi, si è osservata la capacità di Voncento di evitare episodi emorragici in 8 pazienti trattati con il medicinale nella prima parte dello studio. Questa parte dello studio ha mostrato che il numero medio di eventi emorragici nei pazienti in trattamento preventivo è stato ridotto da 18-82 eventi rilevati durante l'anno precedente il trattamento preventivo a 1-6 eventi.

I benefici di Voncento nella prevenzione e nel trattamento degli episodi emorragici nell'emofilia A sono stati evidenziati in uno studio cui hanno partecipato 81 pazienti precedentemente trattati con fattore VIII della coagulazione umana. In questo studio, per il trattamento dell'emorragia Voncento è stato giudicato eccellente nel 60 % (396 su 656) e buono nel 36 % (236 su 656) degli eventi emorragici. Risultati simili sono stati osservati quando Voncento è stato usato a scopo preventivo. Fra i 37 interventi chirurgici effettuati nel corso dello studio, 12 dei quali sono stati impegnativi, l'entità dell'emorragia è stata superiore alle previsioni soltanto in un caso. In totale 5 pazienti, tutti sottoposti a un importante intervento chirurgico al ginocchio, hanno avuto bisogno di una trasfusione di sangue.

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

L'effetto indesiderato più comune di Voncento è cefalea (che può riguardare più di 1 persona su 10). Altri effetti indesiderati comuni (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) includono reazioni di ipersensibilità (reazioni allergiche) e febbre. Fra gli effetti indesiderati rari (che possono riguardare 1-10 persone su 1 000) si annoverano la formazione di coaguli nei vasi sanguigni, l'alterazione del gusto e risultati anormali dei test di funzionalità epatica.

Sussiste il rischio che alcuni pazienti sviluppino inibitori (anticorpi) contro il fattore VIII o il fattore di von Willebrand; pertanto, il medicinale potrebbe diventare inefficace, con conseguente perdita di controllo sull'emorragia.

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

### **Perché Voncento è approvato?**

L'Agenzia ha deciso che i benefici di Voncento sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. L'Agenzia ha osservato che Voncento è risultato efficace nel trattamento e nella prevenzione dell'emorragia nei pazienti con emofilia A nonché nei pazienti con malattia di von Willebrand. Voncento si è dimostrato efficace anche nella prevenzione e nel trattamento dell'emorragia associata a interventi chirurgici. Gli effetti indesiderati hanno avuto generalmente un'entità da lieve a moderata e sono stati considerati tipici di questo genere di medicinale.

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

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

### **Altre informazioni su Voncento**

Il 12 agosto 2013 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Voncento, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Voncento 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 Voncento, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 10-2017.