



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/76094/2014  
EMA/H/C/002284

## Riassunto destinato al pubblico

---

# NovoThirteen

## catridecacog

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per NovoThirteen. 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 NovoThirteen.

### Che cos'è NovoThirteen?

NovoThirteen è un medicinale contenente il principio attivo catridecacog, disponibile come polvere e solvente per la preparazione di una soluzione iniettabile.

### Per che cosa si usa NovoThirteen?

NovoThirteen è usato nella prevenzione a lungo termine delle emorragie nei pazienti affetti da una patologia nota come "deficit congenito della subunità A del fattore XIII". Si tratta di un disturbo ereditario della coagulazione caratterizzato da episodi emorragici.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

### Come si usa NovoThirteen?

Il trattamento con NovoThirteen deve essere iniziato sotto il controllo di un medico esperto nel trattamento dei disturbi rari della coagulazione. Il disturbo deve essere confermato da test adeguati prima del trattamento.

La dose raccomandata è di 35 unità internazionali (UI) per kg di peso corporeo una volta al mese. La dose viene somministrata mediante un'unica iniezione lenta in vena. In alcune situazioni il medico può decidere un aggiustamento della dose per prevenire l'emorragia, in base all'analisi dei livelli di attività del fattore XIII nel sangue.



## **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, concorre a stabilizzare i coaguli di sangue e ad aumentare l'efficacia del coagulo. I pazienti con deficit congenito della subunità A del fattore XIII non possiedono un quantitativo sufficiente di subunità A oppure tale componente non funziona correttamente, il che predispone il paziente a episodi emorragici. Il principio attivo in NovoThirteen, catridecacog, è strutturalmente uguale alla subunità A del fattore umano XIII. NovoThirteen agisce apportando la subunità A del fattore XIII, che contribuisce a prevenire il sanguinamento in questi pazienti. NovoThirteen non è efficace nei pazienti con deficit della subunità B del fattore XIII.

La subunità A del fattore XIII presente in NovoThirteen viene prodotta con un metodo noto come "tecnica del DNA ricombinante": viene cioè ottenuta da cellule di lievito in cui è stato immesso un gene (DNA) che consente loro di produrre tale sostanza.

## **Quali studi sono stati effettuati su NovoThirteen?**

NovoThirteen è stato esaminato nell'ambito di uno studio principale cui hanno partecipato 41 adulti e bambini 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. NovoThirteen è stato somministrato ai pazienti per un anno a scopo preventivo. Lo studio esaminava il numero di episodi emorragici che necessitavano di trattamento con un medicinale contenente il fattore XIII osservati in questi soggetti rispetto a pazienti non trattati con NovoThirteen, sulla base di precedenti dati riferiti a 16 pazienti con deficit congenito della subunità A del fattore XIII. Lo studio è stato prorogato di un anno per 33 pazienti, per analizzare la sicurezza del trattamento con NovoThirteen sul lungo termine.

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

## **Quali benefici ha mostrato NovoThirteen nel corso degli studi?**

Il tasso di episodi emorragici nei pazienti trattati con NovoThirteen preventivamente è risultato inferiore rispetto al tasso osservato in base a precedenti dati, riferiti a pazienti trattati a richiesta con un altro medicinale contenente il fattore XIII. In media, per ogni paziente trattato in via preventiva con NovoThirteen, si sono registrati ogni anno circa 0,15 episodi emorragici che necessitavano di trattamento con fattore XIII. Al confronto, nei soggetti trattati a richiesta con un altro medicinale contenente il fattore XIII, si sono osservati circa 2,9 episodi all'anno per paziente.

Durante lo studio di lungo periodo non si sono osservati episodi di sanguinamento nei bambini di età inferiore a 6 anni trattati con NovoThirteen.

## **Qual è il rischio associato a NovoThirteen?**

Gli effetti indesiderati più comuni di NovoThirteen (osservati in 1-10 pazienti su 100) sono mal di testa, leucopenia (bassa conta dei globuli bianchi), neutropenia aggravata (basso numero di neutrofili, un tipo di globuli bianchi), dolore agli arti, dolore nel sito di iniezione nonché 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 degli effetti indesiderati e delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Perché è stato approvato NovoThirteen?**

Il CHMP ha concluso che dallo studio principale sono emersi risultati soddisfacenti in termini di efficacia, poiché non si sono osservati sanguinamenti gravi o potenzialmente letali durante il trattamento con NovoThirteen. Inoltre, non sono stati registrati effetti collaterali importanti durante l'uso di NovoThirteen a lungo termine. Il CHMP ha deciso che i benefici di NovoThirteen sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

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

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

Inoltre, la ditta che commercializza NovoThirteen fornirà a tutti i medici che potrebbero prescrivere il medicinale un pacchetto informativo per medici e pazienti contenente informazioni importanti sull'uso corretto dello stesso. Tra queste si annoverano istruzioni sulle procedure di conservazione, poiché una conservazione errata dopo la preparazione può provocare l'aumento dei livelli di NovoThirteen attivato e quindi incrementare il rischio di trombosi (formazione di coaguli nei vasi sanguigni), e informazioni sulle procedure di somministrazione, in quanto la concentrazione del fattore XIII in NovoThirteen è diversa da quella di altri medicinali contenenti il fattore XIII.

Ulteriori informazioni sono disponibili nel riassunto del piano di gestione dei rischi.

## **Altre informazioni su NovoThirteen**

Il 3 settembre 2012 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per NovoThirteen, valida in tutta l'Unione europea.

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

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 02-2014.