



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 aprile 2022
EMA/225498/2022
EMA/H/C/005558

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Aduhelm (aducanumab)

Biogen Netherlands B.V. ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Aduhelm, per il trattamento della malattia di Alzheimer.

La ditta ha ritirato la domanda il 20 aprile 2022.

Che cos'è Aduhelm e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Aduhelm è stato sviluppato come medicinale per il trattamento di adulti affetti dalla malattia di Alzheimer.

Era destinato al trattamento degli stadi iniziali della malattia noti come stadio di compromissione cognitiva lieve (MCI) e stadio di demenza lieve.

Aduhelm contiene il principio attivo aducanumab e avrebbe dovuto essere disponibile come concentrato per soluzione per infusione (flebo) in vena.

Come agisce Aduhelm?

Il principio attivo di Aduhelm, aducanumab, è un anticorpo monoclonale (un tipo di proteina) che si lega a una sostanza denominata beta amiloide, che forma placche nel cervello delle persone affette dalla malattia di Alzheimer. Legandosi ad amiloide beta, il medicinale avrebbe dovuto contribuire all'eliminazione delle placche dal cervello, ritardando il peggioramento della malattia.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di due studi principali condotti su oltre 3 000 pazienti affetti dalla malattia di Alzheimer in stadio iniziale. In tali studi sono stati confrontati gli effetti di una dose bassa e di una elevata di Aduhelm con quelli di un placebo (trattamento fittizio). Gli studi hanno esaminato il cambiamento dei sintomi dei pazienti dopo 78 settimane di trattamento in base a una scala di valutazione della demenza nota come CDR-SB.

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

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

An agency of the European Union



A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La valutazione era stata portata a termine; nel dicembre 2021 l’Agenzia europea per i medicinali aveva raccomandato il rifiuto dell’autorizzazione all’immissione in commercio. La ditta aveva richiesto un riesame della raccomandazione dell’Agenzia, ritirando tuttavia la domanda prima che tale riesame fosse terminato.

Qual era la raccomandazione dell’Agenzia a quel punto?

In base all’esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta alle domande formulate dall’Agenzia, al momento del ritiro della domanda, l’Agenzia aveva raccomandato il rifiuto dell’autorizzazione all’immissione in commercio per Aduhelm per il trattamento della malattia di Alzheimer.

L’Agenzia ha ritenuto che, sebbene Aduhelm riducesse beta amiloide nel cervello, non fosse stato stabilito alcun nesso tra questo effetto e il miglioramento clinico. I risultati degli studi principali erano contraddittori e non dimostravano in modo convincente l’efficacia di Aduhelm nel trattamento di pazienti adulti affetti dalla malattia di Alzheimer in stadio iniziale.

Inoltre, gli studi non avevano dimostrato che il medicinale fosse sufficientemente sicuro, in quanto le scansioni cerebrali di alcuni pazienti avevano evidenziato anomalie (anomalie di imaging relative all’amiloide) indicative di tumefazione o sanguinamento a livello cerebrale e potenzialmente dannose. Inoltre, non è chiaro se le anomalie possano essere gestite correttamente nella pratica clinica.

Al momento del ritiro della domanda, mentre il riesame era in corso, l’Agenzia riteneva ancora che i benefici di Aduhelm non fossero superiori ai suoi rischi.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all’Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato di aver proceduto in tal senso in quanto il comitato scientifico dell’Agenzia (CHMP) aveva comunicato che i dati forniti finora non sarebbero stati sufficienti a giustificare un parere positivo sull’autorizzazione all’immissione in commercio di Aduhelm (aducanumab).

Il ritiro della domanda comporta conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l’Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Aduhelm.