



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/171272/2016  
EMA/H/C/004142

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Alprolix

eftrenonacog alfa

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

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

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

Alprolix è un medicinale utilizzato per il trattamento e la prevenzione delle emorragie in pazienti affetti da emofilia B, un disturbo emorragico ereditario causato dalla mancanza di una proteina di coagulazione denominata fattore IX. Può essere somministrato a pazienti di qualsiasi età.

Poiché il numero di pazienti affetti da emofilia B è basso, la malattia è considerata "rara" e Alprolix è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 giugno 2007.

Alprolix contiene il principio attivo eftrenonacog alfa.

## Come si usa Alprolix?

Alprolix può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere effettuato sotto la supervisione di un medico esperto nel trattamento dell'emofilia.

Alprolix è disponibile sotto forma di polvere e solvente che, mescolati, formano una soluzione iniettabile per via endovenosa. La dose e la frequenza di somministrazione dipendono dal peso corporeo del paziente, dal fatto che Alprolix sia usato a fini preventivi o curativi dell'emorragia, dalla severità della carenza del fattore IX nel paziente, dall'entità e dalla sede dell'emorragia, nonché dalle condizioni di salute e dall'età del paziente. Per ulteriori informazioni sull'uso di questo medicinale, consultare il riassunto delle caratteristiche del prodotto (accluso all'EPAR).



I pazienti, o le persone che si prendono cura di loro, possono somministrarsi, o farsi somministrare, Alprolix da soli a casa, dopo aver ricevuto opportune istruzioni. Per maggiori informazioni, leggere il foglio illustrativo.

## **Come agisce Alprolix?**

I pazienti affetti da emofilia B presentano una carenza del fattore IX, una proteina necessaria per la normale coagulazione del sangue. Di conseguenza, sono facilmente soggetti a sanguinamento. Il principio attivo di Alprolix, eftenonacog alfa, agisce nell'organismo allo stesso modo del fattore umano IX. Sostituisce il fattore IX mancante, favorendo la coagulazione del sangue e permettendo un controllo temporaneo del sanguinamento.

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

Alprolix ha dimostrato di essere efficace nel prevenire e curare gli eventi emorragici nell'ambito di due studi principali condotti su pazienti affetti da emofilia B.

Nel primo studio condotto su 123 adulti e adolescenti sopra i 12 anni, nei pazienti ai quali era stato somministrato Alprolix come trattamento preventivo una volta la settimana si sono verificati 3 episodi emorragici l'anno; nei pazienti ai quali era stato somministrato Alprolix come trattamento preventivo una volta ogni 10 giorni si sono verificati 2 episodi emorragici l'anno; infine, nei pazienti ai quali era stato somministrato Alprolix per trattare le emorragie al bisogno si sono verificati circa 18 episodi emorragici l'anno. Inoltre, al verificarsi dell'emorragia, circa il 90 % degli episodi sono stati risolti con una sola iniezione.

Nel secondo studio, condotto su 30 bambini sotto i 12 anni, l'efficacia di Alprolix è risultata simile: in media sono stati riscontrati 2 episodi emorragici l'anno e nel 75 % dei casi gli episodi sono stati risolti dopo una sola iniezione.

## **Quali sono i rischi associati ad Alprolix?**

Reazioni di ipersensibilità (allergiche) ad Alprolix sono state riscontrate raramente e comprendono: gonfiore, bruciore e dolore pungente nella sede dell'iniezione, brividi, vampate di calore, eruzioni pruriginose, cefalea, orticaria, bassa pressione sanguigna, letargia, nausea e vomito, irrequietezza, tachicardia, sensazione di costrizione toracica e respiro sibilante. In alcuni casi, queste reazioni possono manifestarsi in forma grave.

Con i medicinali a base di fattore IX sussiste anche il rischio che alcuni pazienti sviluppino inibitori (anticorpi) contro il fattore in questione; pertanto il medicinale potrebbe diventare inefficace, con conseguente perdita di controllo sul sanguinamento. I medicinali a base di fattore IX possono anche causare problemi dovuti alla formazione di coaguli di sangue nei vasi sanguigni.

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

## **Perché Alprolix è stato approvato?**

Gli studi dimostrano che Alprolix è efficace nel prevenire e curare gli episodi emorragici nei pazienti affetti da emofilia B e che il suo profilo di sicurezza è paragonabile a quello di altri medicinali a base di fattore IX. Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha pertanto deciso che i benefici di Alprolix sono superiori ai rischi e ha raccomandato che venisse approvato l'uso nell'UE.

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

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

## **Altre informazioni su Alprolix**

Per la versione completa dell'EPAR di Alprolix, consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Alprolix, 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 ad Alprolix è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).