



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/384352/2019
EMA/H/C/005300

Azacidina Celgene (*azacidina*)

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

Cos'è Azacidina Celgene e per cosa si usa?

Azacidina Celgene è usato negli adulti che non possono sottoporsi a un trapianto di cellule staminali ematopoietiche (in cui il paziente riceve cellule staminali per ricostituire la capacità del midollo osseo di produrre cellule ematiche sane) per il trattamento delle seguenti malattie:

- sindromi mielodisplastiche, ossia un gruppo di affezioni nelle quali il midollo osseo produce un numero insufficiente di cellule del sangue. In alcuni casi tali sindromi possono portare a leucemia mieloide acuta (LMA, un cancro che colpisce particolari globuli bianchi denominati cellule mieloidi). Azacidina Celgene è usato nei pazienti con rischio da intermedio ad elevato di sviluppo di LMA o di morte;
- leucemia mielomonocitica cronica (LMMC), un cancro che colpisce particolari globuli bianchi denominati monociti. Azacidina Celgene è usato quando il midollo osseo è composto per il 10-29 % da cellule anomale e non produce globuli bianchi a sufficienza;
- LMA a seguito di sindrome mielodisplastica e quando il midollo osseo è composto per il 20-30 % da cellule anomale;
- LMA, quando il midollo osseo è composto per oltre il 30 % da cellule anomale.

Azacidina Celgene contiene il principio attivo azacidina.

Questo medicinale è uguale a Vidaza, già autorizzato nell'UE. La ditta produttrice di Vidaza ha accettato che i suoi dati scientifici possano essere usati per Azacidina Celgene ("consenso informato").

Come si usa Azacidina Celgene?

Azacidina Celgene è disponibile sotto forma di polvere per la preparazione di una sospensione iniettabile e può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere avviato e controllato da un medico esperto nell'utilizzo di medicinali antitumorali. Prima della somministrazione di Azacidina Celgene, i pazienti devono ricevere medicinali contro la nausea (sensazione di star male) e il vomito.

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



La dose raccomandata di Azacitidina Celgene è di 75 mg per metro quadrato di superficie corporea (calcolata in base al peso e all'altezza del paziente). Il medicinale è somministrato tramite iniezione sottocutanea nella parte superiore del braccio, nella coscia o nell'addome ogni giorno per una settimana, seguita da tre settimane senza trattamento. Tale periodo di quattro settimane costituisce un "ciclo". Il trattamento continua per almeno sei cicli e poi fino a quando il paziente continua a trarne beneficio. Prima di ogni ciclo è necessario controllare fegato, reni e sangue. Se le conte ematiche (del sangue) scendono a valori troppo bassi oppure se nel paziente subentrano problemi ai reni, il ciclo di trattamento successivo deve essere differito oppure condotto a una dose ridotta.

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

Come agisce Azacitidina Celgene?

Il principio attivo di Azacitidina Celgene, azacitidina, appartiene al gruppo degli "antimetaboliti" e può essere incorporato nel materiale genetico delle cellule (RNA e DNA) al posto del loro costituente naturale (citidina). Si pensa che agisca modificando il modo in cui la cellula attiva e disattiva i geni nonché interferendo con la produzione di nuovi RNA e DNA. Ciò contribuisce a correggere i problemi legati alla maturazione e alla crescita delle cellule giovani del sangue nel midollo osseo, che causano i disturbi mielodisplastici, e a distruggere le cellule cancerose in presenza di leucemia.

Quali benefici di Azacitidina Celgene sono stati evidenziati negli studi?

Nell'ambito di due studi principali Azacitidina Celgene ha mostrato di essere più efficace delle terapie convenzionali nel prolungare la sopravvivenza. Il primo studio ha interessato 358 adulti affetti da sindromi mielodisplastiche, LMMC o LMA con rischio da intermedio a elevato e che avevano scarse probabilità di sottoporsi a trapianto di cellule staminali. Il midollo osseo di questi pazienti conteneva fino al 30 % di cellule anomale. In questo studio i pazienti trattati con Azacitidina Celgene sono sopravvissuti in media per 24,5 mesi, contro i 15,0 mesi dei pazienti trattati con le terapie convenzionali. L'effetto di Azacitidina Celgene era simile per tutte e tre le malattie.

Il secondo studio è stato condotto su 488 pazienti affetti da LMA che non potevano sottoporsi a trapianto di cellule staminali ematopoietiche e il cui midollo osseo conteneva oltre il 30 % di cellule anomale. I pazienti ai quali è stato somministrato Azacitidina Celgene sono sopravvissuti in media per 10,4 mesi, rispetto ai 6,5 mesi dei pazienti trattati con le terapie convenzionali.

Quali sono i rischi associati ad Azacitidina Celgene?

Gli effetti indesiderati più comuni di Azacitidina Celgene, che possono riguardare oltre il 60 % dei pazienti con sindromi mielodisplastiche, LLMC o LMA (20 %-30 % di cellule anomale), sono reazioni a livello ematico che comprendono trombocitopenia (conte delle piastrine basse), neutropenia (bassi livelli di neutrofili, un tipo di globuli bianchi) e leucopenia (conte dei globuli bianchi basse), effetti indesiderati a carico dello stomaco e dell'intestino, comprendenti nausea e vomito, e reazioni sul sito d'iniezione. Per i pazienti affetti da LMA con oltre il 30 % di cellule anomale gli effetti indesiderati sono simili.

Azacitidina Celgene non deve essere usato nei pazienti con cancro del fegato in stadio avanzato o nelle donne che allattano al seno.

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

Perché Azacitidina Celgene è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Azacitidina Celgene 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 Azacitidina Celgene?

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

Altre informazioni su Azacitidina Celgene

Ulteriori informazioni su Azacitidina Celgene sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
www.ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/azacitidine-celgene.