



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/622089/2020
EMA/H/C/005031

Elzonris (*tagraxofusp*)

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

Cos'è Elzonris e per cosa si usa?

Elzonris è un medicinale usato per il trattamento di adulti affetti da neoplasia a cellule dendritiche plasmacitoidi blastiche (BPDCN), un tipo di tumore del sangue che può interessare molti organi tra cui la cute, il midollo osseo (il tessuto spugnoso all'interno delle grandi ossa) e i linfonodi.

La BPDCN è rara ed Elzonris è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'11 novembre 2015. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567.

Elzonris contiene il principio attivo tagraxofusp.

Come si usa Elzonris?

Elzonris è disponibile per infusione (flebo) in vena e può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Deve essere somministrato solo sotto la supervisione di un medico esperto nell'uso di medicinali antitumorali, in una struttura in cui sono disponibili attrezzature per la rianimazione.

La dose raccomandata è di 12 microgrammi per chilogrammo di peso corporeo una volta al giorno, tramite infusione nell'arco di 15 minuti. Elzonris viene somministrato nei primi 5 giorni di un ciclo di 21 giorni; i cicli vengono ripetuti a meno che la malattia non peggiori o i pazienti presentino effetti indesiderati intollerabili.

Il primo ciclo viene somministrato in ospedale e i pazienti devono essere monitorati per eventuali effetti indesiderati per almeno 24 ore dopo l'ultima infusione. I cicli successivi possono essere somministrati in una struttura ambulatoriale attrezzata per il monitoraggio intensivo dei pazienti trattati per tumori del sangue.

Circa un'ora prima di ciascuna infusione, ai pazienti devono essere somministrati medicinali antistaminici, un corticosteroide e paracetamolo per ridurre il rischio di reazioni di tipo allergico.

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

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



Come agisce Elzonris?

Il principio attivo di Elzonris, tagraxofusp, è costituito dalla tossina difterica (una sostanza tossica per le cellule), legata a una proteina denominata interleuchina 3. La porzione di interleuchina 3 del medicinale si lega ai recettori (bersagli) che si trovano in numero elevato sulle cellule della BPDCN. Una volta legato alle cellule tumorali, il medicinale viene da loro assorbito, il che consente il rilascio della tossina al loro interno, uccidendole. Ciò dovrebbe prevenire la diffusione del tumore e ridurre i sintomi della malattia.

Quali benefici di Elzonris sono stati evidenziati negli studi?

Elzonris è stato esaminato in uno studio condotto su 84 adulti con BPDCN (65 non trattati in precedenza e 19 trattati in precedenza con altri medicinali).

Lo studio ha mostrato che il 57 % (37 su 65) dei pazienti non trattati in precedenza non presentava segni di malattia o presentava un danno cutaneo minimo dopo il trattamento con Elzonris. Inoltre, circa un terzo (21 su 65) di questi pazienti è stato in grado di sottoporsi a trapianto di cellule staminali (una procedura in cui il midollo osseo del paziente viene sostituito da cellule staminali di un donatore per costituire nuovo midollo osseo che produce cellule sane), il che ha contribuito a prolungare il tempo di vita dei pazienti.

Quali sono i rischi associati a Elzonris?

Gli effetti indesiderati più comuni di Elzonris (che possono riguardare più di 1 persona su 5) sono ipoalbuminemia (bassi livelli di albumina nel sangue), aumento dei livelli ematici delle transaminasi (un segno di problemi al fegato), trombocitopenia (bassa conta piastrinica), nausea, stanchezza e febbre.

L'effetto indesiderato più grave che può verificarsi durante il trattamento con Elzonris è la sindrome da perdita capillare (un effetto indesiderato imprevedibile e pericoloso per la vita dovuto alla perdita da piccoli vasi sanguigni), che può riguardare fino a 1 persona su 5.

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

Perché Elzonris è autorizzato nell'UE?

Sebbene lo studio fosse ristretto ed Elzonris non fosse messo a confronto con altri trattamenti, l'Agenzia europea per i medicinali ha ritenuto che la conduzione di studi più ampi per questa malattia rara sia complicata. Dopo aver preso in considerazione ulteriori consigli da parte di esperti del settore, l'Agenzia ha concluso che i benefici di Elzonris superano i suoi rischi nei pazienti con BPDCN non ancora trattati e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE. Tuttavia, i dati non erano sufficienti per trarre la stessa conclusione per i pazienti in cui trattamenti precedenti non erano stati efficaci. La sicurezza di Elzonris è stata ritenuta accettabile con misure specifiche messe in atto per ridurre al minimo il rischio degli effetti indesiderati più gravi.

Elzonris è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Elzonris a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Elzonris?

Poiché Elzonris è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Elzonris fornirà i risultati di uno studio basato su un registro di pazienti con BPDCN, al fine di caratterizzare ulteriormente l'efficacia e la sicurezza di Elzonris.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Elzonris?

La ditta che commercializza Elzonris fornirà materiale informativo agli operatori sanitari e una "scheda di allerta" ai pazienti con informazioni importanti sulla sindrome da perdita capillare.

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

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Elzonris sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Elzonris sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Elzonris

Ulteriori informazioni su Elzonris sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 12-2020.