



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/435928/2015
EMA/H/C/003725

Riassunto destinato al pubblico

Farydak

panobinostat

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

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

Che cos'è e per che cosa si usa Farydak?

Farydak è un medicinale antitumorale usato in associazione con altri due medicinali, bortezomib e desametasone, per il trattamento del mieloma multiplo (un tumore del midollo osseo). Viene somministrato agli adulti nei quali la malattia è ricomparsa o è peggiorata dopo almeno due trattamenti precedenti, comprendenti bortezomib e un immunomodulatore (un medicinale che agisce sul sistema immunitario).

Farydak contiene il principio attivo panobinostat.

Poiché il numero di pazienti affetti da mieloma multiplo è basso, la malattia è considerata "rara" e Farydak è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 novembre 2012.

Come si usa Farydak?

Il trattamento con Farydak deve essere iniziato da un medico esperto nell'uso di terapie antitumorali e il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Farydak è disponibile in capsule (10, 15 e 20 mg) e viene somministrato in cicli di trattamento di 21 giorni, insieme a bortezomib e desametasone. La dose iniziale raccomandata di Farydak è 20 mg, assunta nei giorni 1, 3, 5, 8, 10 e 12 del ciclo. I pazienti ricevono il medicinale per 8 cicli e ulteriori

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



8 cicli di trattamento sono raccomandati nei pazienti che ottengono un beneficio clinico. Il medico può modificare la dose o rimandare la somministrazione nei pazienti che manifestano effetti indesiderati severi. Per ulteriori informazioni, vedere il riassunto delle caratteristiche del prodotto (accluso alle informazioni sul prodotto).

Come agisce Farydak?

Il principio attivo contenuto in Farydak, panobinostat, è un tipo di medicinale chiamato inibitore delle istone deacetilasi (HDAC). Blocca l'attività degli enzimi chiamati istone deacetilasi (HDAC), coinvolti nell'attivazione e disattivazione dei geni all'interno delle cellule. Nel mieloma multiplo, si prevede che panobinostat mantenga attivi i geni che inibiscono la divisione e la crescita delle cellule tumorali. Si prevede che ciò arresti la moltiplicazione delle cellule tumorali e attivi processi che distruggono tali cellule, rallentando così la crescita del tumore.

Quali benefici di Farydak sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Farydak sono stati dimostrati in uno studio principale, condotto in 768 pazienti con mieloma multiplo che si era ripresentato dopo trattamenti precedenti. Il medicinale è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio) come aggiunta al trattamento con bortezomib e desametasone. La misura principale di efficacia era il tempo medio intercorso prima del peggioramento della malattia del paziente (sopravvivenza libera da progressione), che è risultato pari a 12 mesi nei pazienti trattati con Farydak, rispetto a circa 8 mesi in quelli trattati con placebo.

Quando i risultati sono stati analizzati solo per il gruppo di pazienti che avevano ricevuto almeno due trattamenti precedenti, comprendenti bortezomib e un medicinale immunomodulatore (talidomide, lenalidomide o pomalidomide), il tempo medio intercorso sino al peggioramento del mieloma è stato di 12,5 mesi con Farydak, rispetto a 4,7 mesi con placebo.

Quali sono i rischi associati a Farydak?

Gli effetti indesiderati più comuni di Farydak (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono diarrea, stanchezza, nausea e vomito ed effetti a carico del sangue, come trombocitopenia (bassi livelli di piastrine, importanti per la coagulazione del sangue), anemia e neutropenia e linfopenia (bassi livelli di alcuni globuli bianchi). Gli effetti più significativi che hanno comportato l'interruzione del trattamento nei pazienti (verificatisi in circa 4 pazienti su 10) sono stati diarrea, debolezza e stanchezza e polmonite (infezione polmonare). Effetti a carico del cuore si sono verificati in 1-2 pazienti su 10 e hanno incluso tachicardia (aumento della frequenza cardiaca), palpitazioni e ritmo cardiaco irregolare (fibrillazione atriale, tachicardia sinusale); più raramente i pazienti hanno manifestato alterazioni della conduzione elettrica nel cuore (prolungamento dell'intervallo QTc). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Farydak, vedere il foglio illustrativo.

Farydak non deve essere usato in donne che allattano. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Farydak è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha ritenuto clinicamente significativo l'aumento della sopravvivenza libera da progressione, pur osservando che non era ancora stato dimostrato un beneficio in termini di sopravvivenza globale. Inoltre, panobinostat agisce in modo diverso rispetto ai trattamenti esistenti. Ciò significa che offre una nuova alternativa per i pazienti sottoposti ad almeno due trattamenti precedenti, comprendenti bortezomib e agenti immunomodulatori, che hanno opzioni terapeutiche limitate e quindi un'elevata esigenza medica

insoddisfatta. Anche se gli effetti indesiderati hanno destato preoccupazione e potrebbero non essere giustificati in pazienti potenzialmente trattabili con terapie meno tossiche, il CHMP ha ritenuto che essi fossero accettabili nel sottogruppo trattato in precedenza, considerata l'assenza di alternative, e che fossero gestibili. Pertanto, il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha deciso che i benefici di Farydak sono superiori ai rischi in questo gruppo e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

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

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Farydak sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Farydak 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 Farydak fornirà materiale informativo per i pazienti, compresa una scheda per i pazienti, per aiutarli ad assumere il medicinale correttamente. Fornirà inoltre un'analisi finale derivata dallo studio principale sulla durata della sopravvivenza dei pazienti che sono stati trattati con il medicinale.

Ulteriori informazioni sono disponibili nel [riassunto del piano di gestione dei rischi](#).

Altre informazioni su Farydak

Per la versione completa dell'EPAR e del riassunto del piano di gestione dei rischi di Farydak 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 Farydak, 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 a Farydak è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).