



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/473109/2019
EMA/H/C/000236

Ferriprox (*deferiprone*)

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

Cos'è Ferriprox e per cosa si usa?

Ferriprox è un "chelante del ferro" (una sostanza che si lega al ferro) ed è indicato nel trattamento del sovraccarico di ferro (un eccesso di ferro nell'organismo) nei pazienti affetti da talassemia major. Si tratta di una malattia ereditaria a causa della quale i pazienti non sono in grado di produrre una quantità sufficiente di emoglobina, la proteina contenuta nei globuli rossi che trasporta l'ossigeno nell'organismo.

Ferriprox è indicato:

- in monoterapia, quando è controindicato o poco efficace il trattamento standard con un chelante del ferro;
- in combinazione con un altro chelante del ferro quando il trattamento con un chelante del ferro in monoterapia non agisce o quando i livelli del ferro devono essere corretti in modo rapido o intenso per prevenire o curare condizioni potenzialmente letali (principalmente a carico del cuore).

Ferriprox contiene il principio attivo deferiprone.

Come si usa Ferriprox?

Ferriprox può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato e proseguito da un medico esperto nel trattamento della talassemia. È disponibile in compresse (500 e 1 000 mg) e soluzione orale (100 mg/ml).

La dose raccomandata di Ferriprox è 25 mg per kg di peso corporeo, somministrata tre volte al giorno. Il medico può adeguare la dose di Ferriprox in base alla misura in cui i livelli del ferro sono controllati, il che deve essere monitorato ogni 2-3 mesi mediante esami del sangue. Il dosaggio totale per l'intera giornata deve essere inferiore a 100 mg per chilogrammo di peso corporeo. Il medico può interrompere il trattamento se i livelli di ferro raggiungono livelli troppo bassi.

Per maggiori informazioni sull'uso di Ferriprox, 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 Ferriprox?

I pazienti affetti da talassemia major devono sottoporsi a frequenti trasfusioni di sangue. I globuli rossi trasfusi portano ferro nell'organismo. Con trasfusioni ripetute, il ferro si accumula, perché l'organismo non ha un modo naturale di rimuovere il ferro in eccesso. Nel corso del tempo, l'eccesso di ferro può danneggiare organi importanti come il cuore e il fegato. Il principio attivo di Ferriprox, deferiprone, è un "chelante del ferro", nel senso che si lega al ferro presente nell'organismo per formare un composto che può essere escreto dall'organismo, principalmente attraverso l'urina, e in misura minore attraverso le feci. La rimozione del ferro in questa maniera aiuta a correggere il sovraccarico di ferro e a prevenire il danno dovuto al ferro in eccesso.

Quali benefici di Ferriprox sono stati evidenziati negli studi?

Ferriprox è stato studiato in 247 pazienti affetti da talassemia major, di età superiore a 6 anni. Il principale parametro dell'efficacia era la variazione dei livelli di ferritina nel sangue. Il livello di ferritina nel sangue indica la quantità di ferro depositata nell'organismo.

Lo studio principale, che ha coinvolto 71 pazienti, ha confrontato Ferriprox con deferossamina, un altro chelante del ferro, nell'arco di 2 anni. Deferossamina veniva somministrata tramite iniezione sottocutanea durante la notte. I livelli medi di ferritina nel sangue erano simili nei due gruppi di trattamento. La concentrazione media di ferro nel fegato nei pazienti trattati con Ferriprox sembrava tuttavia aumentare maggiormente rispetto ai pazienti trattati con deferossamina.

In un altro studio, che ha coinvolto 60 pazienti trattati per più di 12 mesi, una combinazione di Ferriprox e deferossamina (Ferriprox per 5 giorni più deferossamina per 2 giorni ogni settimana) è stata confrontata con deferossamina in monoterapia. I livelli di ferritina nel sangue sono stati ridotti nella stessa misura nei pazienti trattati sia con la combinazione sia con deferossamina in monoterapia. Il numero di pazienti sottoposto allo studio era troppo basso per dimostrare che tale programma fosse efficace quanto deferossamina in monoterapia.

In aggiunta, gli studi pubblicati che riguardano Ferriprox assunto unitamente a deferossamina, hanno segnalato maggiori riduzioni nei livelli di ferritina nel sangue quando entrambi i medicinali sono stati usati in abbinamento, rispetto all'uso di uno solo dei due medicinali in monoterapia. In uno studio pubblicato, anche Ferriprox, assunto assieme a deferossamina, ha causato maggiori diminuzioni di ferro nel cuore rispetto ai pazienti trattati con deferossamina in monoterapia.

Quali sono i rischi associati a Ferriprox?

Gli effetti indesiderati più comuni di Ferriprox (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono urine di colore rossastro/marrone (il che dimostra che il ferro viene rimosso attraverso l'urina), nausea (sensazione di star male), dolore addominale (mal di stomaco) e vomito. Effetti indesiderati meno comuni, ma più gravi, sono agranulocitosi (livelli molto bassi di granulociti, un tipo di leucocita) e neutropenia (bassi livelli di neutrofili, un tipo di leucocita che combatte le infezioni).

Ferriprox non deve essere usato in soggetti ripetutamente affetti da neutropenia o agranulocitosi. Ferriprox non deve inoltre essere assunto in abbinamento a medicinali che potrebbero causare neutropenia o agranulocitosi. Durante la somministrazione di Ferriprox, la conta dei neutrofili del paziente deve essere controllata regolarmente (ogni settimana nel primo anno; poi, con minore frequenza). Se il paziente s'infetta, il trattamento con Ferriprox deve essere temporaneamente interrotto e la conta dei neutrofili deve essere effettuata con maggiore frequenza. I pazienti devono comunicare immediatamente al loro medico se presentano sintomi di infezione, quali febbre, mal di gola e sintomi simil-influenzali.

Ferriprox non deve essere usato nelle donne durante la gravidanza o l'allattamento.

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

Perché Ferriprox è autorizzato nell'UE?

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

La ditta che commercializza Ferriprox è tenuta a fornire una scheda di promemoria, che informa i pazienti o chi si prende cura di loro sull'importanza di test regolari per la conta dei neutrofili, sulla necessità di prestare attenzione ai sintomi dell'infezione e sulla necessità che le donne evitino una gravidanza durante il trattamento con il medicinale.

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

Altre informazioni su Ferriprox

Ferriprox ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 25 agosto 1999.

Ulteriori informazioni su Ferriprox sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ferriprox.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 09-2019.