



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/349226/2016
EMA/H/C/000236

Riassunto destinato al pubblico

Ferriprox

deferiprone

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Ferriprox. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Ferriprox.

Che cos'è Ferriprox?

Ferriprox è un medicinale che contiene il principio attivo deferiprone. È disponibile in compresse (500 mg e 1 000 mg) e in soluzione orale (100 mg/ml).

Per che cosa si usa Ferriprox?

Ferriprox è un "chelante del ferro" (una sostanza che si lega al ferro) ed è indicato nel trattamento dell'accumulo di ferro (un eccesso di ferro nell'organismo) nei pazienti affetti da talassemia maggiore. Si tratta di una malattia ereditaria nella 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.

È usato:

- in monoterapia, quando è controindicato o inadeguato il trattamento standard con un chelante del ferro;
- in associazione a un altro chelante del ferro, quando il trattamento monoterapico con un chelante del ferro risulta inefficace o quando la prevenzione o il trattamento di affezioni potenzialmente letali (che interessano principalmente il cuore) richiedono una correzione rapida e intensiva dei livelli di ferro.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.



Come si usa Ferriprox?

La terapia con Ferriprox deve essere iniziata e mantenuta da un medico esperto nel trattamento di pazienti talassemici.

La dose usuale di Ferriprox è di 75 mg al giorno per chilogrammo di peso corporeo, divisa in tre dosi separate. Si sconsigliano dosi superiori a 100 mg/kg al giorno a causa del rischio potenzialmente maggiore di effetti indesiderati. Il medico può adattare la dose di Ferriprox sulla base della risposta del paziente, che deve essere misurata ogni due-tre mesi mediante esami del sangue. Il medico può interrompere il trattamento se i livelli di ferro nel sangue raggiungono livelli troppo bassi.

Per ulteriori informazioni, vedere il riassunto delle caratteristiche del prodotto (accluso all'EPAR).

Come agisce Ferriprox?

I pazienti affetti da talassemia maggiore devono sottoporsi a frequenti trasfusioni di sangue. Quando i pazienti ricevono trasfusioni ripetute, i globuli rossi trasfusi apportano ferro nell'organismo.

L'organismo, tuttavia, non possiede una via naturale per rimuovere l'eccesso di ferro, che pertanto tende ad accumularsi. Nel corso del tempo, l'eccesso di ferro può danneggiare organi importanti come il cuore o 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. Ciò aiuta a correggere il sovraccarico di ferro e a prevenire il danno dovuto al ferro in eccesso.

Quali studi sono stati effettuati su Ferriprox?

Ferriprox è stato esaminato inizialmente in tre studi condotti su 247 pazienti di età superiore ai sei anni affetti da talassemia maggiore. Nello studio principale Ferriprox è stato confrontato nell'arco di due anni con deferossamina in 71 pazienti. Lo studio era "in aperto", ossia il medico e i pazienti sapevano quale farmaco stavano utilizzando, in quanto Ferriprox era assunto per bocca, mentre deferossamina era somministrata per infusione sottocutanea per tutta la notte. In uno studio successivo l'impiego alternato di Ferriprox e deferossamina (ogni settimana venivano somministrati Ferriprox per cinque giorni e deferossamina per due giorni) è stato confrontato in 60 pazienti con il trattamento continuo con deferossamina in monoterapia (da sola), nell'arco di 12 mesi.

In tutti gli studi, la misura principale dell'efficacia era il cambiamento dei livelli di ferritina nel sangue. La ferritina è una proteina che accumula ferro nell'organismo. Il livello di ferritina presente nel sangue indica la quantità di ferro accumulato nell'organismo.

Inoltre, a sostegno dell'uso di Ferriprox in associazione a un altro chelante del ferro sono stati forniti studi provenienti dalla letteratura pubblicata condotti su pazienti affetti da talassemia maggiore.

Quali benefici ha mostrato Ferriprox nel corso degli studi?

Nello studio iniziale che confrontava Ferriprox con deferossamina, i livelli sierici medi di ferritina erano analoghi nei due gruppi trattati. Tuttavia la concentrazione media di ferro nel fegato dei pazienti trattati con Ferriprox è apparsa aumentare maggiormente rispetto a quella dei pazienti trattati con deferossamina.

Nello studio del trattamento alternato, il regime posologico che prevedeva la combinazione di Ferriprox per cinque giorni con deferossamina per due giorni ha fatto registrare la stessa riduzione dei livelli di ferritina nel sangue del trattamento con deferossamina in monoterapia. Tuttavia, il numero di pazienti

che ha partecipato allo studio era troppo esiguo per dimostrare se tale regime sia efficace quanto la terapia con deferossamina in monoterapia o meno.

Dagli studi pubblicati sull'uso di Ferriprox associato a deferossamina è emersa una maggiore riduzione dei livelli di ferritina nel sangue in esito al trattamento con una combinazione di entrambi i medicinali rispetto al trattamento monoterapico con uno dei due. Secondo un altro studio pubblicato, Ferriprox associato a deferossamina ha contribuito a ridurre maggiormente i livelli di ferro nel cuore rispetto ai pazienti trattati solo con deferossamina.

Qual è il rischio associato a Ferriprox?

Gli effetti indesiderati più comuni con Ferriprox (osservati in più di 1 paziente su 10) sono urina rossastra/marrone (segno che il ferro viene escreto), nausea, dolore addominale (mal di stomaco) e vomito. Gli effetti indesiderati meno comuni ma più gravi sono agranulocitosi (livelli molto bassi di granulociti, un tipo di globuli bianchi) e neutropenia (livelli bassi di neutrofili, un tipo di globuli bianchi). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Ferriprox, vedere il foglio illustrativo.

Ferriprox non deve essere somministrato a persone che siano incorse in episodi ripetuti di neutropenia o che abbiano sofferto di agranulocitosi. Ferriprox inoltre non deve essere assunto con medicinali che potrebbero causare neutropenia o agranulocitosi. Durante il trattamento con Ferriprox, è necessario procedere ogni settimana alla conta dei neutrofili del paziente. Se il paziente contrae un'infezione, il trattamento con Ferriprox deve essere temporaneamente sospeso e la conta dei neutrofili deve essere controllata con maggiore frequenza. I pazienti che accusano sintomi riconducibili a un'infezione, come febbre, mal di gola e sintomi simil-influenzali, devono immediatamente informarne il medico.

Ferriprox non deve essere usato in gravidanza o durante l'allattamento al seno. Per l'elenco completo delle limitazioni rilevate con Ferriprox, vedere il foglio illustrativo.

Perché è stato approvato Ferriprox?

Il CHMP ha deciso che i benefici di Ferriprox sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

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

Ai pazienti che assumono Ferriprox, o a chi li assiste, deve essere fornito un memorandum per ricordare al paziente come assumere il farmaco in sicurezza.

Al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo sono state aggiunte anche le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono seguire relativamente alla sicurezza e all'uso efficace di Ferriprox.

Altre informazioni su Ferriprox

Il 25 agosto 1999 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Ferriprox, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Ferriprox, consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicines/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Ferriprox, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 05-2016.