



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244286/2021
EMA/H/C/005244

Koselugo (*selumetinib*)

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

Cos'è Koselugo e per cosa si usa?

Koselugo è un medicinale usato per il trattamento di neurofibromi plessiformi [tumori benigni (non cancerogeni) che crescono lungo i nervi] che causano sintomi e non possono essere rimossi mediante intervento chirurgico nei bambini a partire dai 3 anni di età affetti da neurofibromatosi di tipo 1 (NF1).

NF1 è raro e Koselugo è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 31 luglio 2018. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050.

Koselugo contiene il principio attivo selumetinib.

Come si usa Koselugo?

Koselugo è disponibile in compresse e può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere avviato da un medico esperto nella diagnosi e nel trattamento dei tumori correlati a NF1.

La dose raccomandata di Koselugo si basa sul peso e sull'altezza del paziente. Il medicinale è assunto due volte al giorno, a circa 12 ore di distanza, a stomaco vuoto. Il medicinale non deve essere somministrato a pazienti che non sono in grado di deglutire la capsula intera.

Prima e durante il trattamento con Koselugo, il medico controllerà il buon funzionamento del cuore, degli occhi e del fegato del paziente. Il trattamento deve continuare fino a quando la malattia mostra una regressione o rimane stabile e gli effetti indesiderati sono tollerabili. In caso di comparsa di taluni effetti indesiderati il medico può ridurre la dose o interrompere il trattamento in modo temporaneo o permanente.

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

Come agisce Koselugo?

Il principio attivo di Koselugo, selumetinib, blocca gli enzimi denominati MEK1 e MEK2 (MEK1/2), coinvolti nella stimolazione della crescita cellulare. MEK1/2 è iperattivo in NF1, facendo crescere le

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



cellule tumorali in modo incontrollato. Bloccando questi enzimi, Koselugo contribuisce a rallentare la crescita delle cellule tumorali.

Quali benefici di Koselugo sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale ha riscontrato che Koselugo è efficace nel trattamento dei neurofibromi plessiformi nei bambini affetti da NF1 riducendo le dimensioni di questi tumori. Nello studio, le dimensioni del tumore sono diminuite di almeno il 20 % in 33 bambini su 50 (66 %) di età pari o superiore a 3 anni affetti da NF1 e neurofibromi plessiformi che non potevano essere rimossi mediante intervento chirurgico. Nello studio, Koselugo non è stato confrontato con altri medicinali.

Quali sono i rischi associati a Koselugo?

Gli effetti indesiderati più comuni di Koselugo (che possono riguardare più di 4 persone su 10) sono vomito, eruzione cutanea, creatinfosfochinasi ematica aumentata (un enzima rilasciato nel sangue quando il muscolo è danneggiato), diarrea, nausea, eventi astenici (sensazione di debolezza), cute secca, febbre, eruzione cutanea acneiforme (un'eruzione cutanea simile all'acne), ipoalbuminemia (bassi livelli di albumina, una proteina del sangue), aspartato aminotransferasi aumentata (un enzima che indica un possibile segno di problemi epatici) e paronichia (infezione del letto ungueale).

Gli effetti indesiderati gravi più comuni di Koselugo (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono diarrea, anemia (conta dei globuli rossi bassa), febbre, creatinfosfochinasi ematica aumentata e creatinina ematica aumentata (segno di problemi renali).

Koselugo non deve essere usato in pazienti con grave malattia del fegato.

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

Perché Koselugo è autorizzato nell'UE?

I neurofibromi plessiformi possono causare deturpazione, disfunzione motoria, dolore e problemi del sistema nervoso. Per i bambini con neurofibromi plessiformi che non possono essere rimossi mediante intervento chirurgico, non esistono opzioni terapeutiche autorizzate; pertanto, vi è un'importante esigenza medica insoddisfatta. Koselugo ha dimostrato di essere efficace nel ridurre le dimensioni del tumore in tali bambini a partire dai 3 anni di età. Il numero di bambini inclusi nella sperimentazione era ridotto a causa della rarità della malattia. Sebbene i dati sulla sicurezza fossero limitati, indicano che gli effetti indesiderati di Koselugo sono gestibili. L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Koselugo sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Koselugo ha ottenuto una "autorizzazione subordinata a condizioni". Questo significa che in futuro saranno disponibili ulteriori informazioni sul medicinale, che la ditta è tenuta a fornire. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Koselugo?

Poiché per Koselugo è stata rilasciata un'autorizzazione subordinata a condizioni, la ditta che commercializza il medicinale fornirà ulteriori informazioni tratte da due studi in corso volti a confermare i benefici e la sicurezza di Koselugo in bambini con NF1 di età pari o superiore a 3 anni. La ditta condurrà anche un terzo studio su bambini per fornire maggiori informazioni sulla sicurezza a lungo termine del medicinale.

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

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

Altre informazioni su Koselugo

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