



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/150203/2017
EMA/H/C/003861

Riassunto destinato al pubblico

Natpar

ormone paratiroideo

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

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

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

Natpar è un medicinale ormonale sostitutivo per il trattamento di adulti con ghiandole paratiroidee ipoattive, un'affezione nota come ipoparatiroidismo.

Nei pazienti con questa affezione, le ghiandole paratiroidee del collo non producono una sufficiente quantità dell'ormone paratiroideo che controlla il livello di calcio nel sangue. Di conseguenza, i pazienti hanno bassi livelli di calcio che possono causare problemi alle ossa, ai muscoli, al cuore, ai reni e ad altre parti del corpo.

Natpar viene utilizzato in aggiunta al trattamento con integratori di calcio e vitamina D, quando questi trattamenti non sono stati sufficientemente efficaci.

Poiché il numero di pazienti affetti da ipoparatiroidismo è basso, la malattia è considerata "rara" e Natpar è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 18 dicembre 2013.

Il principio attivo di Natpar è l'ormone paratiroideo.



Come si usa Natpar?

Natpar è disponibile sotto forma di polvere e liquido da mescolare assieme per formare una soluzione iniettabile. Natpar viene iniettato sottocute nella coscia utilizzando la penna Natpar. La dose iniziale solitamente raccomandata è di 50 microgrammi una volta al giorno. La dose di Natpar e quella degli integratori di vitamina D e di calcio assunti dal paziente vengono poi aggiustate sulla base dei livelli di calcio nel sangue del paziente. La dose massima giornaliera è di 100 microgrammi.

Il paziente può praticarsi l'iniezione di Natpar da solo previa formazione. Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere monitorato da un operatore sanitario esperto nella gestione dei pazienti affetti da ipoparatiroidismo. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Natpar?

Il principio attivo contenuto in Natpar, l'ormone paratiroideo, è una copia dell'ormone naturale prodotto dalle ghiandole paratiroidi. Sostituisce l'ormone mancante nei pazienti affetti da ipoparatiroidismo, aiutandoli a ripristinare i livelli di calcio.

Quali benefici di Natpar sono stati evidenziati negli studi?

Si è evidenziato che Natpar contribuisce a controllare i livelli di calcio nel sangue in pazienti affetti da ipoparatiroidismo che stanno assumendo integratori di calcio e vitamina D.

In uno studio principale di 24 settimane effettuato su 124 pazienti, il 54,8 % (46 su 84) di quelli che hanno ricevuto Natpar ha raggiunto e mantenuto livelli accettabili di calcio nel sangue riducendo al tempo stesso le dosi di integratori di calcio e vitamina D di almeno il 50 %. La percentuale di pazienti che hanno assunto un placebo (trattamento fittizio) e ottenuto lo stesso risultato è stata del 2,5 % (1 paziente su 40).

Quali sono i rischi associati a Natpar?

Gli effetti indesiderati più comuni di Natpar (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono livelli di calcio nel sangue troppo alti o troppo bassi, che possono comportare cefalea, diarrea, vomito, parestesia (sensazioni insolite come formicolio e pizzicore), ipoestesia (riduzione del senso del tatto) ed elevati livelli di calcio nell'urina. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Natpar, vedere il foglio illustrativo.

Natpar non deve essere utilizzato in pazienti che si stanno sottoponendo o si sono sottoposti a radioterapia alle ossa, sono affetti da cancro delle ossa o da un cancro che si è diffuso alle ossa e sono maggiormente a rischio di sviluppare un cancro delle ossa detto osteosarcoma. Inoltre Natpar non deve essere utilizzato in pazienti che presentano aumenti non chiariti dei livelli di un enzima detto fosfatasi alcalina ossea e in pazienti che presentano pseudo-ipoparatiroidismo, una malattia rara nella quale l'organismo non risponde in modo adeguato all'ormone paratiroideo che produce. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Natpar è approvato?

Natpar sostituisce l'ormone paratiroideo mancante in pazienti affetti da ipoparatiroidismo. Lo studio principale ha mostrato che Natpar contribuisce al controllo dei livelli di calcio nel sangue riducendo al tempo stesso la necessità di integratori di calcio e vitamina D. Tuttavia, tale studio è stato di breve durata e non vi è stata evidenza di miglioramenti nella qualità di vita dei pazienti o di riduzione di

problemi a lungo termine come l'insufficienza renale. Pertanto, Natpar deve essere usato esclusivamente in pazienti non adeguatamente controllati con i soli trattamenti standard e che non hanno altre opzioni di trattamento.

In merito alla sicurezza, il rischio che i livelli di calcio diventino troppo alti o troppo bassi è considerato importante: sono necessari ulteriori dati per comprendere meglio le conseguenze di importanti fluttuazioni del livello di calcio nel sangue dopo l'assunzione del medicinale una volta al giorno.

Poiché i dati disponibili sono limitati, Natpar ha ottenuto una "approvazione condizionata". Questo significa che in futuro saranno disponibili ulteriori informazioni sul medicinale, che la ditta è tenuta a fornire. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili e questo riassunto sarà aggiornato di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Natpar?

Poiché per Natpar è stata rilasciata un'approvazione condizionata, la ditta che commercializza Natpar condurrà un ulteriore studio per confermare i benefici e i rischi del medicinale e l'adeguatezza della somministrazione una volta al giorno.

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

La ditta che commercializza Natpar istituirà un registro e raccoglierà dati a lungo termine sui pazienti trattati con Natpar, includendo gli effetti sulle ossa, sui reni e sulla qualità della vita dei pazienti stessi.

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

Altre informazioni su Natpar

Per la versione completa dell'EPAR di Natpar consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Natpar, 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 Natpar 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).