



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/450923/2016  
EMA/H/C/000978

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Vidaza

azacitidina

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

## Che cos'è Vidaza?

Vidaza è un medicinale contenente il principio attivo azacitidina. È disponibile sotto forma di polvere per la preparazione di una sospensione iniettabile.

## Per che cosa si usa Vidaza?

Vidaza è usato per il trattamento di adulti affetti dalle seguenti malattie qualora essi non siano in grado di ricevere un trapianto di cellule staminali ematopoietiche (in cui il paziente riceve cellule staminali per ricostituire la capacità del midollo osseo di produrre cellule ematiche sane):

- sindromi mielodisplastiche, ovvero un gruppo di malattie caratterizzate da un'insufficiente produzione di globuli del sangue da parte del midollo osseo. In alcuni casi tali sindromi mielodisplastiche possono portare a leucemia mieloide acuta (LMA, un cancro che colpisce particolari globuli bianchi, le cellule mieloidi). Vidaza è usato nei pazienti con rischio da intermedio ad elevato di sviluppo di LMA o di morte;
- leucemia mielomonocitica cronica (LMMC), un cancro che colpisce particolari globuli bianchi, i monociti. Vidaza è usato qualora il midollo osseo sia composto per il 10-29 % da cellule anormali e non produca un numero sufficiente di globuli bianchi;
- LMA a seguito di sindrome mielodisplastica e qualora il midollo osseo sia composto per il 20-30 % da cellule anormali;

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



- LMA, qualora il midollo osseo sia composto per più del 30% da cellule anormali.

Poiché il numero di pazienti affetti da tali malattie è basso, queste sono considerate "rare" e Vidaza è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale usato nelle malattie rare) il 6 febbraio 2002 per le sindromi mielodisplastiche e il 29 novembre 2007 per la LMA. All'epoca di tale designazione, la LMMC era classificata tra le sindromi mielodisplastiche.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

## **Come si usa Vidaza?**

Vidaza deve essere somministrato sotto la supervisione di un medico esperto nell'uso di medicinali antitumorali. Prima di ricevere Vidaza, ai pazienti vanno somministrati medicinali contro la nausea e il vomito.

La dose raccomandata di Vidaza è di 75 mg per metro quadrato di superficie corporea (calcolata in base al peso e all'altezza del paziente). Vidaza è somministrato tramite iniezione sottocutanea (sotto pelle) nella parte superiore del braccio, nella coscia o nell'addome ogni giorno per una settimana, seguita da tre settimane senza trattamento. Tale periodo di quattro settimane costituisce un "ciclo". Il trattamento continua per almeno sei cicli e poi fino a quando il paziente continua a trarne beneficio. Prima di ogni ciclo è necessario controllare fegato, reni e sangue. Se le conte ematiche (del sangue) scendono a valori troppo bassi oppure se nel paziente subentrano problemi ai reni, il ciclo di trattamento successivo deve essere differito oppure condotto a una dose ridotta.

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

## **Come agisce Vidaza?**

Il principio attivo di Vidaza, azacitidina, appartiene alla classe degli "antimetaboliti". L'azacitidina è un analogo della citidina; ciò significa che viene incorporata nel materiale genetico delle cellule (RNA e DNA). Si pensa che essa agisca modificando il modo in cui la cellula attiva e disattiva i geni e anche interferendo con la produzione di nuovo RNA e DNA. Si ritiene che tali interventi correggano i problemi di maturazione e crescita dei nuovi globuli del sangue nel midollo osseo, che causano le sindromi mielodisplastiche, e che uccidano le cellule cancerose nei casi di leucemia.

## **Quali studi sono stati effettuati su Vidaza?**

Vidaza è stato esaminato in due studi principali. Il primo studio ha interessato 358 adulti con sindromi mielodisplastiche di rischio da intermedio a elevato, LMMC o LMA che avevano scarse probabilità di potersi sottoporre a trapianto di cellule staminali. Il midollo osseo di questi pazienti conteneva fino al 30 % di cellule anormali. Il secondo studio ha interessato 488 pazienti con LMA di età pari o superiore a 65 anni che non erano in grado di ricevere un trapianto di cellule staminali ematopoietiche. Il loro midollo osseo conteneva più del 30 % di cellule anormali. Entrambi gli studi hanno confrontato Vidaza rispetto alle terapie convenzionali (trattamento scelto individualmente in base alle prassi locali e alla malattia del paziente). La misura principale dell'efficacia era il periodo di sopravvivenza dei pazienti.

## **Quali benefici ha mostrato Vidaza nel corso degli studi?**

Vidaza si è dimostrato più efficace delle cure tradizionali nel prolungare la sopravvivenza. Nel primo studio, i pazienti trattati con Vidaza sono sopravvissuti in media per 24,5 mesi, contro i 15,0 mesi dei pazienti trattati con le cure convenzionali. L'effetto di Vidaza è simile per tutte e tre le malattie.

Nel secondo studio su pazienti affetti da LMA con più del 30% di cellule anormali, i pazienti che hanno assunto Vidaza sono sopravvissuti in media per 10,4 mesi, contro i 6,5 mesi dei pazienti trattati con le cure convenzionali.

## **Qual è il rischio associato a Vidaza?**

Gli effetti indesiderati più comuni di Vidaza osservati in oltre il 60 % dei pazienti con sindromi mielodisplastiche, LLMC o LMA (20 %-30 % di cellule anormali), sono reazioni a livello ematico che comprendono trombocitopenia (basse conte piastriniche), neutropenia (bassi livelli di neutrofili, un tipo di globuli bianchi) e leucopenia (basse conte dei globuli bianchi), effetti indesiderati a carico dello stomaco e dell'intestino, comprendenti nausea e vomito, e reazioni nel sito dell'iniezione. Gli effetti indesiderati sono simili nei pazienti affetti da LMA con oltre 30 % di cellule anormali. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Vidaza, vedere il foglio illustrativo.

Vidaza non deve essere usato nei pazienti con cancro del fegato in fase avanzata o nelle donne che allattano al seno. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Perché è stato approvato Vidaza?**

Il CHMP ha deciso che i benefici di Vidaza sono superiori ai 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 Vidaza?**

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

## **Altre informazioni su Vidaza**

Il 17 dicembre 2008 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Vidaza, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Vidaza consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Vidaza, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

I riassunti del parere del comitato per i medicinali orfani relativi a Vidaza sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [qui](#) (sindromi mielodisplastiche) e [qui](#) (LMA).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 07-2016.