



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/643004/2017
EMA/H/C/003937

[Riassunto destinato al pubblico](#)

Xermelo

telotristat

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

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

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

Xermelo è un medicinale utilizzato per il trattamento della diarrea severa negli adulti associata a una patologia denominata sindrome da carcinoide. La sindrome da carcinoide si manifesta quando determinati tumori producono e rilasciano nel sangue quantità eccessive di una sostanza denominata serotonina. L'eccesso di serotonina può causare diarrea severa nonché altri sintomi quali rash cutaneo al viso (flushing) e crampi. Xermelo è utilizzato in associazione con altri medicinali, denominati analoghi della somatostatina, quando tali medicinali non sono sufficienti da soli a controllare la diarrea.

Poiché il numero di pazienti affetti dalla sindrome da carcinoma è basso, la malattia è considerata "rara" e Xermelo è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 ottobre 2009.

Xermelo contiene il principio attivo telotristat.

Come si usa Xermelo?

Xermelo può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. È disponibile in compresse contenenti 250 mg di telotristat e la dose raccomandata è una compressa tre volte al giorno. Le dosi possono essere ridotte nei pazienti con funzione epatica lievemente o moderatamente ridotta. I medici possono



considerare la possibilità di interrompere la terapia se non si riscontrano benefici per i pazienti dopo 12 settimane. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Xermelo?

Il principio attivo contenuto in Xermelo, telotristat, blocca l'azione di enzimi denominati L-triptofano idrossilasi. Questi enzimi sono necessari per la produzione di serotonina. Bloccando gli enzimi, il telotristat riduce la produzione di serotonina in pazienti con sindrome da carcinoide e allevia in tal modo i sintomi della patologia.

Quali benefici di Xermelo sono stati evidenziati negli studi?

I benefici derivanti dall'aggiunta di Xermelo alla terapia sono stati dimostrati in uno studio principale a cui hanno partecipato 135 pazienti con sindrome da carcinoide la cui diarrea non era stata sufficientemente controllata con i soli analoghi della somatostatina. Xermelo è stato messo a confronto con placebo (trattamento fittizio) e il principale indicatore dell'efficacia era il cambiamento del numero medio di evacuazioni giornaliere nelle 12 settimane dello studio.

All'inizio, i pazienti trattati con Xermelo avevano una media di 6,1 evacuazioni al giorno, che nel corso delle 12 settimane sono diminuite fino a una media di 4,7 al giorno, pari a una riduzione di 1,4 evacuazioni. I pazienti trattati con placebo avevano una media di 5,2 evacuazioni giornaliere all'inizio, che si sono ridotte a una media di 4,6 evacuazioni al giorno, pari a un calo di 0,6 evacuazioni. Gli effetti di Xermelo sono stati osservati a partire da circa 3 settimane dopo l'inizio del trattamento.

Quali sono i rischi associati a Xermelo?

Gli effetti indesiderati più comuni di Xermelo (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono dolore addominale (mal di pancia), aumento dell'enzima epatico gamma-glutamil transferasi e stanchezza, e sono solitamente di entità lieve o moderata. L'effetto indesiderato più comune abbastanza grave da causare l'interruzione del trattamento è il dolore addominale.

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

Perché Xermelo è approvato?

È stato dimostrato che Xermelo produce una riduzione del numero di evacuazioni sofferte da pazienti con sindrome da carcinoide non sufficientemente controllate con altri medicinali. Benché modesta, tale riduzione è stata ritenuta significativa dato che i pazienti considerano la frequenza delle evacuazioni un sintomo con un impatto importante sulla qualità della vita. Gli effetti indesiderati che sono stati osservati, riguardanti principalmente l'intestino, non hanno sollevato preoccupazioni rilevanti e sono stati considerati lievi e gestibili. L'Agenzia europea per i medicinali ha pertanto deciso che i benefici di Xermelo sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

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

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

Altre informazioni su Xermelo

Per la versione completa dell'EPAR di Xermelo 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 Xermelo, 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 Xermelo è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).