



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 settembre 2025
EMA/310493/2020
EMA/H/C/004123/II/58

Esito della valutazione sull'uso di Lutathera nel trattamento di tumori neuroendocrini gastroenteropancreatici negli adolescenti

L'Agenzia europea per i medicinali ha portato a termine la valutazione di una domanda per estendere l'uso di Lutathera agli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con tumori neuroendocrini gastroenteropancreatici (GEP-NET), non resecabili o metastatici, positivi al recettore della somatostatina. Sebbene l'EMA non abbia raccomandato questo uso, ha convenuto che i dati pertinenti dello studio presentato con la domanda siano inclusi nelle informazioni sul prodotto del medicinale, in modo che gli operatori sanitari abbiano accesso a dati aggiornati sugli effetti di Lutathera nelle persone con GEP-NET.

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

Lutathera è un medicinale antitumorale usato per il trattamento di adulti con tumori dell'intestino noti come GEP-NET non resecabili (che non possono essere asportati chirurgicamente) o metastatici (che si sono diffusi ad altre parti dell'organismo) e che non rispondono alle terapie. È usato quando le cellule tumorali presentano sulla loro superficie recettori (proteine) che si legano a un ormone denominato somatostatina (positivo al recettore della somatostatina). Lutathera è un radiofarmaco (un medicinale che emette una piccola dose di radioattività).

Lutathera è autorizzato nell'UE dal settembre 2017. Contiene il principio attivo lutezio (^{177}Lu) oxodotreotide ed è disponibile sotto forma di soluzione da somministrare per infusione (flebo) in vena.

Ulteriori informazioni sugli usi attuali di Lutathera sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/lutathera.

Quale modifica aveva richiesto la ditta?

La ditta aveva richiesto di estendere l'uso di Lutathera agli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con GEP-NET positivi al recettore della somatostatina, non resecabili o metastatici.

Lutathera è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) per i GEP-NET il 31 gennaio 2008. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono



disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-07-523.

Come agisce Lutathera?

Il principio attivo di Lutathera, lutezio (^{177}Lu) oxodotreotide, è un analogo della somatostatina (una versione artificiale dell'ormone somatostatina) in combinazione con lutezio (^{177}Lu), un componente che emette una piccola quantità di radioattività. Agisce legandosi ai recettori della somatostatina, presenti in numero elevato in alcuni GEP-NET. La radioattività emessa dal medicinale distrugge quindi le cellule tumorali cui si è legato con limitato effetto sulle cellule vicine. Negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con GEP-NET positivi al recettore della somatostatina, non resecabili o metastatici, si prevede che Lutathera agisca allo stesso modo che negli adulti con questa condizione.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i dati di uno studio principale che ha coinvolto 4 adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con GEP-NET positivi al recettore della somatostatina, non resecabili o metastatici, progressivi (che non rispondevano alle terapie), in cui le cellule sono ben differenziate (ossia assomigliano alle cellule normali) e a crescita lenta [GEP-NET di grado 1 (G1) o 2 (G2)]. Lo studio ha coinvolto anche 7 adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con feocromocitoma e paraganglioma, altri tumori neuroendocrini rari. In questo studio, il trattamento con Lutathera non è stato confrontato con un altro trattamento o con un placebo (trattamento fittizio). Lo studio ha valutato principalmente la quantità di radiazioni assorbite da diversi organi (ad esempio reni e midollo osseo), nonché la sicurezza e la tollerabilità di Lutathera negli adolescenti.

Quali sono state le conclusioni dell'EMA?

L'EMA ha ritenuto che, sebbene i dati disponibili fossero molto limitati, i benefici di Lutathera negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con GEP-NET positivi al recettore della somatostatina, non resecabili o metastatici, progressivi, ben differenziati (G1 e G2) potrebbero essere superiori ai suoi rischi. Tuttavia, prima che l'estensione dell'uso potesse ricevere un parere positivo, l'EMA ha osservato che era necessario apportare alcune modifiche alle informazioni relative alla prescrizione, unitamente a una valutazione della possibilità di effettuare uno studio per esaminare i rischi a lungo termine associati all'esposizione alle radiazioni. Mentre la domanda era ancora in fase di valutazione, la ditta ha deciso di non procedere con l'ulteriore avanzamento della richiesta di estensione dell'uso di Lutathera agli adolescenti.

Sebbene Lutathera non possa quindi essere autorizzato per gli adolescenti, le informazioni relative alla prescrizione saranno aggiornate per includere dati pertinenti, in modo che gli operatori sanitari abbiano accesso a dati aggiornati sugli effetti di Lutathera negli adolescenti con GEP-NET.

Quali sono le conseguenze di tale decisione per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Lutathera.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.