



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 giugno 2025  
EMA/203280/2025  
EMA/H/C/001110/II/0077

## Esito della valutazione sull'uso di Revolade nel trattamento dell'anemia aplastica grave nei bambini

L'Agenzia europea per i medicinali ha concluso la valutazione di una domanda per estendere l'uso di Revolade ai bambini affetti da anemia aplastica grave (SAA). 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 Revolade nelle persone affette da SAA.

### Cos'è Revolade e per cosa si usa?

Revolade è un medicinale usato per il trattamento di:

- trombocitopenia immune primaria (ITP), una malattia in cui il sistema immunitario del paziente distrugge le piastrine (componenti del sangue che contribuiscono alla coagulazione). I pazienti affetti da ITP hanno una bassa conta piastrinica (trombocitopenia) e sono a rischio di sanguinamento. Revolade è usato in pazienti a partire da un anno di età per i quali il trattamento con medicinali quali corticosteroidi o immunoglobuline non ha avuto esito positivo. Inoltre, è indicato nei bambini e adolescenti che sono affetti da ITP da almeno 6 mesi;
- trombocitopenia negli adulti affetti da epatite C cronica (a lungo termine), una malattia epatica causata dal virus dell'epatite C. Revolade è usato quando la trombocitopenia è troppo grave per optare in favore di una terapia a base di interferone (un tipo di trattamento per l'epatite C);
- SAA acquisita (una malattia in cui il midollo osseo non produce un numero sufficiente di cellule ematiche o piastrine). Acquisita significa che la malattia non è ereditata. Revolade è usato negli adulti la cui malattia non è controllabile con una terapia immunosoppressiva (ossia con medicinali che riducono le difese immunitarie dell'organismo) e che non possono essere soggetti a trapianto di cellule staminali ematopoietiche (in cui il midollo osseo del paziente è sostituito da cellule staminali, provenienti da un donatore, per formare nuovo midollo osseo).

Revolade è autorizzato nell'UE dal marzo 2010. Contiene il principio attivo eltrombopag ed è disponibile sotto forma di compresse e in polvere per preparare una sospensione (un liquido) da assumere per bocca.

Maggiori informazioni sugli usi correnti di Revolade sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

[ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade).

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Quale modifica aveva richiesto la ditta?**

La ditta ha chiesto di estendere l'uso di Revolade ai bambini di età pari o superiore a 2 anni affetti da SAA la cui malattia non è controllata da un trattamento immunosoppressivo o è tornata dopo tale trattamento e che non possono ricevere trapianto di cellule staminali ematopoietiche.

## **Come agisce Revolade?**

Nell'organismo, un ormone naturale chiamato trombopoietina stimola la produzione di piastrine legandosi a taluni recettori (i cosiddetti bersagli) nel midollo osseo e attivandoli. Come la trombopoietina, il principio attivo di Revolade, eltrombopag, si lega anche ai recettori della trombopoietina, stimolandone l'attività. Ciò aumenta la produzione di piastrine, migliora il conteggio delle medesime e riduce il rischio di sanguinamento. In alcuni pazienti affetti da SAA, Revolade può anche aumentare la produzione di cellule ematiche. Nei bambini di età pari o superiore a 2 anni affetti da anemia aplastica grave, si prevede che Revolade agisca allo stesso modo che negli adulti affetti da questa condizione.

## **Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?**

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale in corso su 51 bambini di età pari o superiore a due anni affetti da SAA che non potevano essere sottoposti a trapianto di cellule staminali ematopoietiche. In questo studio, 37 bambini non avevano ricevuto un trattamento precedente e 14 avevano ricevuto una terapia immunosoppressiva, ma la loro malattia non era stata controllata o era ricomparsa. Tutti i bambini hanno ricevuto Revolade in associazione a una terapia immunosoppressiva per 26 settimane. Il medicinale non è stato confrontato con alcun altro trattamento o placebo (un trattamento fittizio). L'obiettivo principale dello studio era valutare il comportamento di Revolade nei bambini. Gli obiettivi secondari comprendevano la valutazione della sicurezza e dell'efficacia del medicinale.

## **Quali sono state le conclusioni dell'EMA?**

L'EMA ha osservato che, sebbene i risultati dello studio fornito dal richiedente suggeriscano che i bambini affetti da SAA potrebbero trarre beneficio dal trattamento con Revolade, solo 14 pazienti dello studio corrispondevano all'uso previsto. Questo numero è stato considerato troppo esiguo per trarre conclusioni definitive sull'efficacia e la sicurezza di Revolade in questi bambini.

L'EMA ha pertanto concluso che la sicurezza e l'efficacia di Revolade non sono state sufficientemente stabilite nei bambini affetti da SAA e che il medicinale non deve essere autorizzato in questi pazienti. Tuttavia, le informazioni relative alla prescrizione di Revolade saranno aggiornate per includere dati pertinenti, in modo che gli operatori sanitari abbiano accesso a dati aggiornati sugli effetti di Revolade nei bambini affetti da SAA.

## **Questo risultato incide sui pazienti inseriti in studi clinici/programmi di uso compassionevole?**

La ditta ha informato l'Agenzia che lo studio di Revolade nei bambini affetti da SAA è stato recentemente completato e che non sono in corso altri studi su questi bambini.