



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

28 febbraio 2025
EMA/67546/2025
EMA/H/C/006348

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Pelgraz Paediatric (pegfilgrastim)

Accord Healthcare S.L.U. ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Pelgraz Paediatric per il trattamento della neutropenia (bassi livelli di neutrofili, un tipo di globuli bianchi che contribuisce a combattere le infezioni) e per la prevenzione della neutropenia febbrile (neutropenia accompagnata da febbre) nei bambini affetti da cancro. La neutropenia è un effetto indesiderato comune della chemioterapia antitumorale e aumenta il rischio di infezioni.

La ditta ha ritirato la domanda il 20 febbraio 2025. Il ritiro non incide sull'autorizzazione all'immissione in commercio per Pelgraz, che è autorizzato per il trattamento della neutropenia negli adulti affetti da cancro.

Che cos'è Pelgraz Paediatric e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Pelgraz Paediatric è stato sviluppato come medicinale per ridurre la durata della neutropenia e prevenire la neutropenia febbrile nei bambini affetti da cancro di peso compreso tra 10 kg e 45 kg.

Pelgraz Paediatric contiene il principio attivo pegfilgrastim e avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di siringa preriempita contenente una soluzione iniettabile per via sottocutanea, somministrata come dose singola dopo ogni ciclo di chemioterapia.

Pelgraz Paediatric è stato sviluppato come medicinale "biosimilare". Ciò significa che Pelgraz Paediatric era destinato a essere molto simile a un altro medicinale biologico contenente pegfilgrastim già autorizzato nell'UE (il "medicinale di riferimento"). Il medicinale di riferimento di Pelgraz Paediatric è Neulasta, che è autorizzato solo per l'uso negli adulti, mentre Pelgraz Paediatric era stato sviluppato specificamente per l'uso pediatrico (autorizzazione all'immissione in commercio per uso pediatrico). Per maggiori informazioni sui medicinali biosimilari, cliccare [qui](#).

Come agisce Pelgraz Paediatric?

Il principio attivo di Pelgraz Paediatric e di Neulasta, pegfilgrastim, è una forma di filgrastim, che è molto simile a una proteina umana denominata fattore stimolante le colonie di granulociti (G-CSF). Analogamente al G-CSF, filgrastim agisce stimolando il midollo osseo a produrre più globuli bianchi, aumentando la conta dei globuli bianchi, prevenendo e trattando in tal modo la neutropenia e aiutando l'organismo a combattere le infezioni.

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

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

An agency of the European Union



Nell'Unione europea filgrastim è disponibile in altri medicinali già da diversi anni. In Pelgraz Paediatric e Neulasta, filgrastim è stato "pegilato", ossia legato a una sostanza chimica denominata polietilenglicole. Tale processo rallenta l'eliminazione di filgrastim dall'organismo, permettendo di somministrare il medicinale con una frequenza minore.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato studi volti a dimostrare che Pelgraz Paediatric è paragonabile al medicinale di riferimento negli adulti. Poiché Pelgraz Paediatric avrebbe dovuto essere usato nei bambini, per i quali il medicinale di riferimento non era autorizzato, la ditta ha presentato i risultati di uno studio principale condotto su 12 bambini di età inferiore a 6 anni sottoposti a chemioterapia per la cura del cancro. Lo studio ha confrontato Pelgraz Paediatric con una formulazione non pegilata di filgrastim.

La ditta ha inoltre fornito altri dati, tra cui dati tratti dalla letteratura scientifica e due meta-analisi (analisi combinate di diversi studi pubblicati), a sostegno dell'efficacia e della sicurezza di pegfilgrastim nei bambini allo schema posologico proposto.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato la documentazione fornita dalla ditta e aveva formulato domande da sottoporle. Dopo la valutazione da parte dell'Agenzia delle risposte della ditta all'ultima serie di domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?

In base all'esame dei dati e alla risposta fornita dalla ditta alle domande poste dall'Agenzia, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Pelgraz Paediatric non potesse essere autorizzato per la riduzione della neutropenia e la prevenzione della neutropenia febbrile nei bambini affetti da cancro e con peso compreso tra 10 kg e 45 kg.

L'Agenzia aveva dubbi circa il fatto che lo schema posologico proposto non fosse sufficientemente suffragato da dati. Inoltre, vi erano dubbi in merito all'accuratezza del dosaggio con la siringa preriempita, il che potrebbe portare a errori di dosaggio. Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia riteneva che i benefici di Pelgraz Paediatric non fossero superiori ai suoi rischi.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato procedere in tal senso a causa dei dubbi sollevati dall'Agenzia.

Quali sono le conseguenze del ritiro 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 Pelgraz Paediatric.

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