



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/81195/2026  
EMA/H/C/005856

## Adstiladrin (*nadofaragene firadenovec*)

Sintesi in linguaggio semplice di Adstiladrin e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

### Cos'è Adstiladrin e per cosa si usa?

Adstiladrin è un medicinale di terapia genica usato per il trattamento di adulti affetti da cancro della vescica non muscolo-invasivo (NMIBC), un tipo di tumore che colpisce il rivestimento della vescica. È destinato a persone affette da un tumore che non si è diffuso oltre il rivestimento interno della vescica (noto come carcinoma in situ).

Adstiladrin è usato quando il tumore non ha risposto al trattamento con il bacillo di Calmette-Guérin (BCG), un trattamento standard per il tumore della vescica che stimola il sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo).

Il medicinale contiene il principio attivo nadofaragene firadenovec.

### Come si usa Adstiladrin?

Adstiladrin può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere supervisionato da un medico esperto nella gestione di pazienti affetti da NMIBC. Viene somministrato una volta ogni tre mesi sotto forma di liquido direttamente nella vescica attraverso l'uretra (il tubo attraverso il quale l'urina fuoriesce dall'organismo).

La durata del trattamento dipende dall'efficacia e dalla capacità del paziente di tollerarlo. È possibile che il medico debba interrompere il trattamento in caso di recidiva della malattia o qualora gli effetti indesiderati diventino troppo gravi.

Prima di ogni trattamento, ai pazienti viene solitamente somministrata una dose di un altro medicinale per prevenire problemi quali l'irritazione della vescica.

Per maggiori informazioni sull'uso di Adstiladrin, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

### Come agisce Adstiladrin?

Adstiladrin è un tipo di terapia genica che utilizza un virus modificato per portare un gene nelle cellule. Il gene utilizzato in Adstiladrin è responsabile della produzione di una proteina chiamata interferone

---

**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



alfa-2b.

Il virus utilizzato è stato modificato in modo da non potersi moltiplicare o causare un'infezione.

Quando Adstiladrin arriva nella vescica, il virus penetra nelle cellule che la rivestono, comprese le cellule tumorali. Tali cellule sono quindi in grado di produrre interferone alfa-2b, che rallenta o impedisce la crescita delle cellule tumorali, e contribuisce anche a stimolare il sistema immunitario ad attaccarle.

## **Quali benefici di Adstiladrin sono stati evidenziati negli studi?**

I benefici di Adstiladrin sono stati valutati in uno studio principale condotto su 103 adulti affetti da NMIBC non reattivo al BCG con carcinoma in situ (con o senza tumori papillari). Tutti i pazienti hanno ricevuto almeno una dose di Adstiladrin, somministrata nella vescica. Lo studio non ha confrontato Adstiladrin con un altro trattamento o con placebo (un trattamento fittizio). Tre mesi dopo l'inizio del trattamento con Adstiladrin, il 53 % dei pazienti ha manifestato una risposta completa, il che significa che non presentava segni rilevabili del tumore. La risposta è durata in media circa 10 mesi.

Gli studi effettuati con Adstiladrin sono descritti più dettagliatamente nella relazione di valutazione del medicinale.

## **Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Adstiladrin?**

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Adstiladrin (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono infezione delle vie urinarie (infezione delle parti del corpo che raccolgono ed eliminano l'urina) e sintomi legati alle modalità d'uso del medicinale. Questi includono fuoriuscita di liquido nel sito in cui il medicinale viene instillato, spasmo della vescica (improvviso irrigidimento della vescica che può causare dolore o necessità urgente di urinare), urgenza della minzione (urgenza improvvisa di urinare), ematuria (sangue nelle urine), disuria (minzione dolorosa), dolore alle vie urinarie inferiori e pollachiuria (minzione anormalmente frequente). Inoltre, altri effetti indesiderati comuni (che possono anch'essi riguardare più di 1 persona su 10) comprendono stanchezza, febbre, brividi, cefalea e diarrea.

Alcuni effetti indesiderati possono essere gravi. I più frequenti (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono la sincope (svenimento).

## **Perché Adstiladrin è autorizzato nell'UE?**

Al momento dell'autorizzazione, i trattamenti per il NMIBC che non risponde al BCG erano limitati. L'opzione terapeutica principale era l'intervento chirurgico per rimuovere la vescica, che non è adatto a tutti i pazienti. Adstiladrin offre una nuova opzione terapeutica ai pazienti che non desiderano sottoporsi o che non sono idonei a un intervento chirurgico.

I risultati di un piccolo studio non comparativo di breve durata suggeriscono che Adstiladrin possa apportare benefici a questi pazienti, sebbene la durata di tali benefici sia stata limitata. La sicurezza del medicinale è stata ritenuta accettabile considerando la gravità del NMIBC e la mancanza di trattamenti alternativi al momento dell'autorizzazione. Tuttavia, quando l'intervento chirurgico viene ritardato, esiste un potenziale rischio di diffusione della malattia nei muscoli della vescica (muscolo-invasiva) o in altre parti del corpo (metastatica), che deve essere preso in considerazione quando si usa il medicinale.

Adstiladrin ha ottenuto un'autorizzazione subordinata a condizioni per l'uso nell'UE. Questo significa che è stato autorizzato sulla base di dati meno esaustivi di quelli normalmente necessari, poiché risponde a un'esigenza medica non soddisfatta. L'Agenzia europea per i medicinali ritiene che la disponibilità in tempi più rapidi del medicinale presenti benefici superiori ai rischi associati all'uso che ne verrà fatto in attesa di ulteriori prove.

La ditta è tenuta a fornire ulteriori dati su Adstiladrin. Deve presentare i risultati di uno studio in corso sull'efficacia e la sicurezza del medicinale negli adulti affetti da NMIBC. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

## **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Adstiladrin?**

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

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Adstiladrin sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Adstiladrin sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

## **Altre informazioni su Adstiladrin**

Ulteriori informazioni su Adstiladrin, compresi il foglio illustrativo e la relazione di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adstiladrin](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/adstiladrin).

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'[autorità nazionale competente](#).