



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/753310/2016  
EMA/H/C/004075

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Afstyla

## lonoctocog alfa

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

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

### Che cos'è e per che cosa si usa Afstyla?

Afstyla è un medicinale utilizzato per il trattamento e la profilassi del sanguinamento nei pazienti affetti da emofilia A (deficit congenito della coagulazione causato dalla mancanza di fattore VIII, una proteina che interviene nel processo di coagulazione del sangue). Contiene il principio attivo lonoctocog alfa.

### Come si usa Afstyla?

Afstyla è disponibile sotto forma di polvere e solvente per soluzione iniettabile. L'iniezione viene praticata in vena nell'arco di alcuni minuti. La dose e la frequenza dell'iniezione dipendono dal fatto che Afstyla sia utilizzato per il trattamento del sanguinamento oppure per la prevenzione del sanguinamento in regime di profilassi, dalla severità del deficit del fattore VIII, dalla sede e dall'entità del sanguinamento così come dalle condizioni cliniche e dal peso corporeo del paziente.

Afstyla può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve avvenire sotto la supervisione di un medico esperto nel trattamento dell'emofilia. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.



## **Come agisce Afstyla?**

Il fattore VIII, una proteina necessaria per il normale processo di coagulazione del sangue è carente nei pazienti affetti da emofilia A, che, di conseguenza, sanguinano facilmente.

Il principio attivo presente in Afstyla, lonoctocog alfa, è un fattore VIII a catena singola che agisce nell'organismo come il fattore VIII umano. Sostituisce il fattore VIII mancante, e, di conseguenza, coadiuva la coagulazione del sangue fornendo un controllo temporaneo sul sanguinamento.

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

Afstyla si è dimostrato efficace per il trattamento degli episodi di sanguinamento in due studi principali completati su pazienti precedentemente trattati con altri prodotti a base di fattore VIII affetti da emofilia A severa.

Il primo studio ha coinvolto 173 pazienti di età superiore ai 12 anni. Nel corso dello studio è stato registrato un totale di 848 episodi di sanguinamento, il 94% dei quali si è risolto con una o due iniezioni di Afstyla. Afstyla è stato valutato "eccellente" o "buono" nel trattamento del 92% degli episodi di sanguinamento. Nelle 16 procedure chirurgiche effettuate durante lo studio, Afstyla è stato valutato "eccellente" o "buono" per la prevenzione degli episodi di sanguinamento se utilizzato da due a tre volte alla settimana. Tra i pazienti in terapia con Afstyla per prevenire il sanguinamento, è stata registrata una media di 1,14 episodi di sanguinamento all'anno per ciascun paziente; una media inferiore a quella dei 19,64 episodi di sanguinamento all'anno registrata nei pazienti non sottoposti a profilassi con Afstyla.

Il secondo studio ha coinvolto 83 pazienti di età inferiore ai 12 anni. Afstyla è stato valutato "eccellente" o "buono" nel trattamento del 96% dei 347 episodi di sanguinamento registrati durante lo studio; il 96% degli episodi di sanguinamento si sono risolti con una o due iniezioni di Afstyla. Tra i pazienti a cui è stato somministrato Afstyla per impedire il sanguinamento, la media del numero di episodi di sanguinamento all'anno è stata di 2,30 per i pazienti ai quali è stato somministrato Afstyla tre volte alla settimana e di 4,37 per coloro ai quali è stato somministrato Afstyla due volte alla settimana.

## **Quali sono i rischi associati a Afstyla?**

Le reazioni da ipersensibilità di tipo allergico sono comuni con Afstyla e possono riguardare fino a 1 persona su 10. Tali reazioni possono includere: angioedema (gonfiore dei tessuti sotto la pelle), bruciore e dolore pungente nella sede d'infusione, brividi, arrossamenti, orticaria generalizzata, emicrania, eruzione cutanea, ipotensione (pressione bassa), sonnolenza, nausea, agitazione, tachicardia (ritmo cardiaco accelerato), costrizione toracica, formicolio, vomito e dispnea. In alcuni casi queste reazioni possono essere severe.

Inoltre, esiste il rischio che alcuni pazienti trattati con medicinali a base di fattore VIII sviluppino inibitori (anticorpi) neutralizzanti il fattore VIII, che danno luogo a un' inadeguata risposta clinica con conseguente perdita di controllo sul sanguinamento.

Afstyla non deve essere utilizzato nei pazienti con allergie note alle proteine di criceto.

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

## **Perché Afstyla è approvato?**

Afstyla si è dimostrato efficace sia nel trattamento che nella profilassi degli episodi di sanguinamento. Per quanto riguarda la sicurezza, gli effetti indesiderati segnalati sono in linea con quelli previsti per un

medicinale a base di fattore VIII, sebbene le reazioni di ipersensibilità si verificano più frequentemente con Afstyla. Maggiori dati sulla sicurezza saranno forniti dagli studi in corso.

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Afstyla 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 Afstyla?**

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

### **Altre informazioni su Afstyla**

Per la versione completa dell'EPAR di Afstyla 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 Afstyla, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.