



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/496146/2024
EMA/H/C/005938

Alhemo (*concizumab*)

Sintesi di Alhemo e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Alhemo e per cosa si usa?

Alhemo è un medicinale usato per prevenire episodi emorragici (profilassi) in persone di età pari o superiore a 12 anni con emofilia A o B. Le persone con emofilia A o B sono esposte al rischio di emorragia perché manca loro una proteina che favorisce la coagulazione del sangue (fattore VIII nell'emofilia A e fattore IX nell'emofilia B).

Alhemo è usato:

- in persone con emofilia A o B che hanno sviluppato anticorpi (proteine prodotte dalle difese naturali dell'organismo) denominati inibitori che impediscono ai medicinali a base di fattore VIII o IX di agire correttamente;
- in persone con emofilia A grave o emofilia B da moderata a grave che non hanno sviluppato anticorpi.

Alhemo contiene il principio attivo concizumab.

Come si usa Alhemo?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato sotto la supervisione di un medico esperto nel trattamento dell'emofilia o dei disordini della coagulazione.

Alhemo è somministrato mediante iniezione sottocutanea nell'addome (pancia) o nella coscia una volta al giorno, utilizzando una penna preriempita. I pazienti e le persone che li assistono possono praticare l'iniezione autonomamente se hanno ricevuto una formazione adeguata. Alhemo viene somministrato in modo continuativo per prevenire episodi emorragici.

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

Official address Domenico Scarlatilaan 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



Come agisce Alhemo?

Oltre ai fattori VIII e IX, l'organismo utilizza altre proteine per favorire la coagulazione, come il fattore Xa. Normalmente una proteina denominata inibitore della via del fattore tissutale (TFPI) impedisce al fattore Xa di avviare la coagulazione.

Il principio attivo di Alhemo, concizumab, è un anticorpo monoclonale (un tipo di proteina). Si lega al TFPI e ne impedisce il blocco del fattore Xa. In tal modo consente al fattore Xa di favorire la coagulazione del sangue e prevenire l'emorragia nelle persone con emofilia A o B.

Quali benefici di Alhemo sono stati evidenziati negli studi?

In due studi principali, il trattamento preventivo con Alhemo è risultato efficace nel ridurre il numero di episodi emorragici in persone di età pari o superiore a 12 anni con emofilia A o B sia con inibitori sia senza inibitori.

Il primo studio ha coinvolto 127 partecipanti che avevano sviluppato inibitori; 33 sono stati inclusi nell'analisi. Il numero medio stimato di episodi emorragici per anno è stato pari a 1,7 nei soggetti trattati con Alhemo, rispetto a 11,8 nei soggetti che ricevevano trattamento al bisogno con medicinali a base di fattore al momento dell'emorragia.

I soggetti trattati con Alhemo hanno inoltre mostrato lievi miglioramenti del dolore e della funzionalità fisica, misurati con un sistema di punteggio standardizzato denominato SF-36v2. I punteggi sono migliorati rispettivamente di 9,2 e 4,5 punti (su una scala di 100 punti), rispetto a 2,2 e 1,2 punti nei soggetti che non hanno ricevuto la profilassi.

Il secondo studio principale ha coinvolto 148 persone con emofilia A grave o emofilia B da moderata a grave che non avevano sviluppato inibitori contro i medicinali a base di fattore. Per 27 partecipanti con emofilia A, il numero medio stimato di emorragie per anno è stato 2,7 nei soggetti trattati con Alhemo, rispetto a 19,3 in quelli trattati solo al bisogno con medicinali a base di fattore al momento dell'emorragia. Per 36 partecipanti con emofilia B, i valori sono stati 3,1 con Alhemo e 14,8 con trattamento al bisogno. Inoltre, nei partecipanti precedentemente trattati con terapia sostitutiva di fattore VIII o IX in profilassi, il numero di emorragie per anno non è cambiato in modo significativo dopo il passaggio ad Alhemo.

Quali sono i rischi associati a Alhemo?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Alhemo (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono reazioni nel sito di iniezione quali arrossamento, lividura ed ematoma (una raccolta di sangue sotto la pelle).

Alcuni effetti indesiderati possono essere gravi. I più comuni (che possono riguardare fino a 1 persona su 100) comprendono eventi tromboembolici (problemi dovuti alla formazione di coaguli di sangue nei vasi sanguigni) e reazioni di ipersensibilità (allergiche).

Perché Alhemo è autorizzato nell'UE?

Alhemo è efficace nella prevenzione degli episodi emorragici in pazienti di età pari o superiore a 12 anni con emofilia A o B che presentano inibitori, nonché in quelli senza inibitori con emofilia A grave o emofilia B da moderata a grave.

Al momento dell'autorizzazione, la maggior parte dei trattamenti per i pazienti senza inibitori prevedeva infusioni frequenti per via endovenosa di terapia sostitutiva con fattore VIII o IX. Alhemo viene somministrato una volta al giorno come iniezione sottocutanea e i pazienti o le persone che li assistono possono praticare l'iniezione a domicilio, il che può risultare più pratico e comodo. Poiché le opzioni terapeutiche per i pazienti con inibitori erano limitate, Alhemo ha offerto un'ulteriore possibilità di trattamento.

Per quanto riguarda la sicurezza, Alhemo è generalmente ben tollerato. Il principale problema di sicurezza è il rischio di eventi tromboembolici, ritenuto gestibile.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Alhemo sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Alhemo?

La ditta che commercializza Alhemo fornirà agli operatori sanitari materiale formativo sulla sicurezza del medicinale, includendo tra l'altro informazioni sul rischio potenziale di eventi tromboembolici e sulla necessità di monitorare i pazienti per individuare eventuali segni e sintomi correlati. Inoltre, i pazienti riceveranno una guida e una scheda da portare sempre con sé.

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

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Alhemo sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Alhemo sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Alhemo

Alhemo ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 13 dicembre 2024.

Ulteriori informazioni su Alhemo sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/alhemo>.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 08-2025.