



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/1380/2018
EMA/H/C/004258

Riassunto destinato al pubblico

Alofisel

darvadstrocel

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

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

Che cos'è e per che cosa si usa Alofisel?

Alofisel è un medicinale usato per il trattamento di fistole anali complesse in adulti con malattia di Crohn (una condizione infiammatoria dell'intestino) nel caso in cui un medicinale convenzionale o biologico non si sia dimostrato sufficientemente efficace.

Le fistole sono canali anomali tra le parti inferiori dell'intestino e la cute intorno all'ano. Le fistole complesse sono quelle con vari canali anomali e aperture o con canali che penetrano in profondità nell'organismo o in cui si verificano altre complicazioni quali accumulo di pus.

Alofisel contiene il principio attivo darvadstrocel, che comprende cellule staminali estratte dal tessuto adiposo di donatori adulti. È un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato "prodotto di terapia cellulare somatica", ossia un tipo di medicinale contenente cellule o tessuti che sono stati modificati in modo da poter essere utilizzati per curare, diagnosticare o prevenire una malattia.

Poiché il numero di pazienti affetti da fistole anali è basso, la malattia è considerata "rara" e Alofisel è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 ottobre 2009.



Come si usa Alofisel?

Alofisel deve essere somministrato esclusivamente da medici specialisti esperti nella diagnosi e nel trattamento della condizione per cui viene utilizzato. Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Alofisel è somministrato una volta sola. Al paziente viene somministrato un anestetico (totale in modo da addormentare il paziente o locale sulla zona da trattare). Dopo aver preparato le fistole per il trattamento in una sala operatoria, il contenuto di due flaconcini (ciascuno contenente 30 milioni di cellule) viene iniettato intorno alle aperture interne e altri due flaconcini nelle aperture esterne nelle pareti della fistola.

Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Alofisel?

Alofisel è costituito da "cellule staminali mesenchimali" derivanti dal tessuto adiposo di un donatore. Per realizzare questo medicinale, le cellule sono selezionate e coltivate in laboratorio per moltiplicarle. Una volta iniettate nelle pareti della fistola, queste cellule possono contribuire a ridurre l'infiammazione e a favorire la crescita di tessuto nuovo. Ciò agevola la guarigione e la chiusura della fistola.

Quali benefici di Alofisel sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale, condotto su 212 pazienti con malattia di Crohn e fistole anali complesse, ha riscontrato un'efficacia maggiore di Alofisel rispetto al placebo (trattamento fittizio) 24 settimane dopo il trattamento. Il trattamento con medicinali convenzionali o biologici non si era dimostrato efficace in questi pazienti. Il principale parametro dell'efficacia, denominato "remissione combinata", è stato la chiusura di anomali aperture esterne insieme all'assenza di canali interni più larghi di 2 cm pieni di fluido (poiché rischiano di riaprire la fistola). Tra i pazienti trattati con Alofisel, si è verificata una remissione combinata in quasi il 50 % dei pazienti (53 su 107) rispetto al 34 % dei pazienti (36 su 105) cui era stato somministrato placebo.

Quali sono i rischi associati ad Alofisel?

Gli effetti indesiderati più comuni di Alofisel (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono ascesso anale (una zona gonfia con un accumulo di pus), proctalgia (dolore anale), fistola anale e dolore durante il trattamento.

Alofisel non deve essere usato in pazienti con ipersensibilità (allergia) al siero bovino (il liquido limpido del sangue bovino) o a uno qualsiasi dei componenti di Alofisel.

Perché Alofisel è approvato?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Alofisel sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. Alofisel è prezioso nel trattamento di fistole anali complesse che non hanno risposto in maniera adeguata ad altri trattamenti. I dati sulla sicurezza di Alofisel sono limitati ma forniscono informazioni sufficienti sulla configurazione degli effetti indesiderati.

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

La ditta che commercializza Alofisel fornirà materiale informativo rivolto agli operatori sanitari sulla corretta modalità di somministrazione del medicinale e sulla possibilità di trasmissione di un'infezione

al paziente. La ditta, inoltre, porterà a termine uno studio al fine di continuare a raccogliere informazioni sull'efficacia e sulla sicurezza di Alofisel.

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

Altre informazioni su Alofisel

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

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo ad Alofisel è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Medicinale non più autorizzato