



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/642286/2018
EMA/H/C/003855

Coagadex (*fattore X della coagulazione umano*)

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

Cos'è Coagadex e per cosa si usa?

Coagadex è un medicinale utilizzato per il trattamento e la prevenzione delle emorragie (anche durante o dopo interventi chirurgici) in pazienti affetti da carenza ereditaria del fattore X, un disturbo emorragico causato dalla mancanza del fattore X, che è una proteina necessaria per la normale coagulazione del sangue.

La carenza del fattore X è rara e Coagadex è stato definito come “medicinale orfano” (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 14 settembre 2007. Maggiori informazioni sulla definizione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Coagadex contiene il principio attivo fattore X della coagulazione umano.

Come si usa Coagadex?

Coagadex viene somministrato tramite iniezioni in vena, con dose e frequenza che dipendono dalla gravità della carenza del fattore X, dall'entità e dalla sede dell'emorragia nonché dalle condizioni di salute e dal peso corporeo del paziente.

Coagadex può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato sotto il controllo di un medico esperto nel trattamento di disturbi emorragici rari. I pazienti possono praticare l'iniezione di Coagadex da soli a casa, purché opportunamente istruiti. Per maggiori informazioni sull'uso di Coagadex, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Coagadex?

I pazienti affetti da carenza ereditaria del fattore X sono caratterizzati dalla mancanza del fattore X, una proteina necessaria per la formazione dei coaguli di sangue che impediscono alle ferite di sanguinare. In questi pazienti i coaguli di sangue non si formano in modo corretto e, di conseguenza, il sanguinamento non cessa facilmente e le ferite hanno difficoltà a rimarginarsi. Il principio attivo di Coagadex è il fattore X umano isolato dal plasma di donatori di sangue. Sostituendo il fattore X



mancante, Coagadex favorisce la coagulazione del sangue e consente di controllare temporaneamente le emorragie.

Quali benefici di Coagadex sono stati evidenziati negli studi?

Coagadex è stato esaminato in uno studio principale condotto su 16 pazienti affetti da carenza ereditaria del fattore X, di età compresa tra 12 e 58 anni. Ai pazienti è stato somministrato Coagadex per intervenire su eventuali emorragie spontanee durante il periodo di trattamento o per prevenire emorragie nel corso di un intervento chirurgico. Il principale parametro di efficacia si è basato sulla valutazione, da parte del medico e del paziente, dell'efficacia della terapia nella prevenzione e nel trattamento degli episodi emorragici.

Per quanto riguarda il trattamento delle emorragie, sono stati registrati ed esaminati 187 episodi e il trattamento con Coagadex è stato valutato "eccellente" o "buono" nel 98,4 % dei casi. Per 3 interventi chirurgici di lieve entità effettuati nel corso dello studio, Coagadex è stato valutato eccellente nella prevenzione degli episodi emorragici.

In uno studio su 9 bambini di età inferiore ai 12 anni (4 dei quali di età inferiore ai 4 anni), un trattamento preventivo di routine con Coagadex per un periodo di 6 mesi è stato valutato eccellente nella riduzione o prevenzione degli episodi emorragici. In totale, nello studio sono stati riportati 10 casi di emorragia, di cui 4 sono stati trattati con Coagadex. Una singola infusione di Coagadex è stata sufficiente per tenere sotto controllo ogni episodio emorragico trattato.

Quali sono i rischi associati a Coagadex?

Gli effetti indesiderati più comuni di Coagadex (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono dolore o arrossamento al sito di iniezione, affaticamento e dolore dorsale.

Reazioni di ipersensibilità (allergiche) possono verificarsi raramente nei pazienti trattati per disturbi emorragici (in al massimo 1 paziente su 1.000) e in alcuni casi possono risultare gravi. Queste reazioni non sono state riportate durante gli studi clinici condotti su Coagadex.

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

Perché Coagadex è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Coagadex sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE. L'Agenzia, in considerazione della mancanza di terapie specifiche per la carenza del fattore X, ha concluso che Coagadex è risultato efficace nel trattamento e nella prevenzione di emorragie nei pazienti affetti da tale condizione. Gli effetti indesiderati di Coagadex sono stati ritenuti gestibili e di intensità lieve o moderata. Tuttavia, a causa dell'estrema rarità della condizione, la banca dati sulla sicurezza è limitata e ci si aspetta che eventi rari non siano rilevati durante gli studi clinici.

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

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Coagadex 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 Coagadex sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Coagadex sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Coagadex

Coagadex ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 16 marzo 2016.

Ulteriori informazioni su Coagadex sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 08-2018.