



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267635/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*idro cortisone*)

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

Cos'è Efmody e per cosa si usa?

Efmody è un medicinale utilizzato per il trattamento di una condizione ereditaria chiamata iperplasia surrenale congenita (CAH) in pazienti di età pari o superiore a 12 anni.

La CAH è "rara" ed Efmody è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 27 luglio 2005. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Efmody contiene il principio attivo idrocortisone ed è un "medicinale ibrido". Questo significa che è simile a un "medicinale di riferimento" che contiene lo stesso principio attivo, ma Efmody ha un uso diverso ed è disponibile in diversi dosaggi sotto forma di capsule formulate per rilasciare il principio attivo nell'arco di un periodo di tempo prolungato. Il medicinale di riferimento di Efmody capsule è Hydrocortone compresse.

Come si usa Efmody?

Efmody è disponibile sotto forma di capsule a rilascio modificato e può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere avviato da un medico esperto nella gestione della CAH.

La dose raccomandata di Efmody negli adulti e negli adolescenti che hanno terminato la crescita è di 15-25 mg al giorno. Negli adolescenti che non hanno terminato la crescita, la dose dipende dal peso e dall'altezza. La dose giornaliera può essere aggiustata secondo necessità in base alla risposta individuale. Da due terzi a tre quarti della dose giornaliera si assumono la sera al momento di coricarsi, almeno 2 ore dopo l'ultimo pasto, e il resto al mattino almeno 1 ora prima di un pasto.

I pazienti possono dover assumere un ulteriore medicinale a base di idrocortisone durante i periodi di stress mentale o fisico, compresi intervento chirurgico e infezioni.

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

Come agisce Efmody?

Le persone affette da CAH non sono in grado di produrre in quantità sufficiente il cortisolo, l'ormone naturale corticosteroide (e a volte un altro ormone: l'aldosterone). Il cortisolo è normalmente prodotto

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
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



nelle ghiandole surrenali (piccole ghiandole appena al di sopra dei reni) e aiuta a regolare altri ormoni e la risposta dell'organismo allo stress nonché l'equilibrio fra sali e acqua nell'organismo. Tali persone soffrono di un aumento degli ormoni sessuali maschili che possono provocare problemi di crescita e di fertilità.

Efmody contiene idrocortisone, una forma sintetica di cortisolo, e lentamente lo rilascia nell'intestino per sostituire l'ormone naturale nell'organismo, in un modello simile alla secrezione giornaliera naturale di cortisolo. Ciò contribuisce a ripristinare un equilibrio ormonale più normale e a ridurre al minimo altri aspetti della condizione.

Quali benefici di Efmody sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Efmody sono stati evidenziati in uno studio principale condotto su 122 pazienti affetti da CAH. Efmody è stato confrontato con il trattamento standard a base di altri medicinali corticosteroidi. La principale misura dell'efficacia era un punteggio basato sui livelli di 17-OHP, una sostanza ormonale che indica un aumento degli ormoni sessuali maschili nella CAH non controllata. Una riduzione di questo punteggio nel corso dello studio ha mostrato un miglior controllo. Nell'arco delle 24 settimane di studio questo punteggio è diminuito di 0,403 nei pazienti trattati con Efmody rispetto agli 0,172 registrati nei pazienti sottoposti a un trattamento standard. Sebbene questa differenza non sia stata sufficiente a dimostrare chiaramente che Efmody agiva meglio di un trattamento standard, le misurazioni hanno suggerito anche un migliore controllo dei livelli di 17-OHP al mattino.

I dati a supporto provenienti da uno studio di continuazione in corso hanno indicato che il controllo della CAH potrebbe essere mantenuto con Efmody a più lungo termine.

Quali sono i rischi associati a Efmody?

L'effetto indesiderato più comune di Efmody (che può riguardare più di 1 persona su 10) è la stanchezza. Altri effetti indesiderati comuni di Efmody (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono cefalea, appetito aumentato, capogiro e guadagno ponderale. L'effetto grave più comune è l'insufficienza surrenalica acuta (quando un medicinale corticosteroide non è in grado di fornire una quantità sufficiente di idrocortisone per rispondere all'aumento delle esigenze di cortisolo in condizioni di stress o infezione, che può essere dimostrato da vomito o sensazione di star poco bene).

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

Perché Efmody è autorizzato nell'UE?

Efmody ha fornito un controllo adeguato della CAH e i dati generali hanno indicato un miglior equilibrio ormonale. I dati a lungo termine hanno suggerito che ciò potrebbe essere mantenuto, in alcuni casi utilizzando dosi inferiori di corticosteroide rispetto al periodo precedente, riducendo così il rischio di effetti indesiderati derivanti dal trattamento a lungo termine. Si è ritenuto che l'idrocortisone a rilascio modificato offra un valore clinico consentendo un dosaggio che corrisponde al ritmo giornaliero della secrezione naturale di cortisolo. Gli effetti indesiderati segnalati di Efmody sono in linea con quelli attesi per l'idrocortisone assunto per via orale. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Efmody 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 Efmody?

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

Altre informazioni su Efmody

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

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.