



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006211

Ekterly (*sebetralstat*)

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

Cos'è Ekterly e per cosa si usa?

Ekterly è un medicinale usato per trattare i sintomi degli attacchi di angioedema (gonfiore) ereditario in persone di età pari o superiore a 12 anni. Le persone con angioedema ereditario soffrono di attacchi di rapido gonfiore che possono verificarsi in qualsiasi parte del corpo, come il viso, la gola, le braccia, le gambe o intorno all'intestino. Questi attacchi possono essere potenzialmente letali.

L'angioedema ereditario è raro ed Ekterly è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 21 giugno 2022. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Ekterly contiene il principio attivo sebetralstat.

Come si usa Ekterly?

Ekterly può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere prescritto da un medico esperto nel trattamento di persone affette da angioedema ereditario.

Il medicinale è disponibile sotto forma di compresse, da assumere per via orale. Una compressa va assunta ai primi segni di un attacco. Una seconda compressa può essere assunta almeno 3 ore dopo la prima se i sintomi non si alleviano, peggiorano o si ripresentano. Nell'arco di 24 ore non devono essere assunte più di due compresse.

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

Come agisce Ekterly?

Il principio attivo di Ekterly, sebetralstat, agisce bloccando l'attività di una proteina denominata callicreina. Nelle persone affette da angioedema ereditario, la callicreina è eccessivamente attiva e determina un aumento dei livelli di un'altra proteina denominata bradichinina. La bradichinina induce la dilatazione dei vasi sanguigni e la loro permeabilità, causando l'accumulo di liquido nei tessuti circostanti, il che provoca gli attacchi di angioedema. Bloccando la callicreina, Ekterly riduce la quantità di bradichinina prodotta durante un attacco impedendone il peggioramento.

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



Quali benefici di Ekterly sono stati evidenziati negli studi?

Da uno studio principale è emerso che, rispetto al placebo (un trattamento fittizio), Ekterly può alleviare in tempi più rapidi i sintomi durante gli attacchi di angioedema ereditari.

Lo studio principale è stato condotto su 110 persone di età pari o superiore a 12 anni affette da angioedema ereditario. I partecipanti sono stati invitati ad assumere una compressa di Ekterly o placebo ai primi segni di un attacco. Dopo almeno 3 ore potevano assumere una seconda compressa se i sintomi non si erano alleviati a sufficienza, si erano aggravati o ripresentati. La principale misura dell'efficacia è stata il tempo necessario prima che i sintomi iniziassero ad alleviarsi dopo il trattamento, determinato mediante la scala dell'impressione globale di cambiamento (PGI-C) espressa dal paziente. La scala PGI-C è un questionario rivolto ai pazienti invitati a valutare quanto i loro sintomi si siano alleviati o siano peggiorati dopo il trattamento.

In media, i sintomi hanno cominciato ad alleviarsi 1,6 ore dopo il trattamento nelle persone che avevano assunto Ekterly, rispetto alle 6,7 ore di quelle che avevano assunto placebo.

Quali sono i rischi associati a Ekterly?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Ekterly (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono il mal di testa.

Perché Ekterly è autorizzato nell'UE?

Uno studio principale ha dimostrato che Ekterly è più efficace del placebo nell'alleviare i sintomi di attacchi di angioedema ereditario.

Al momento dell'autorizzazione, Ekterly era il primo medicinale per gli attacchi di angioedema ereditario a poter assunto per via orale. In questo modo si offre ai pazienti un'opzione più comoda rispetto alla somministrazione di medicinali per iniezione. Inoltre, una compressa può essere assunta prima che il paziente cominci a sviluppare sintomi di un attacco, il che potrebbe ridurre la gravità e la durata dell'attacco.

La sicurezza di Ekterly è stata valutata in un numero limitato di pazienti. Gli episodi di mal di testa associati a Ekterly erano di intensità da lieve a moderata e si sono risolti spontaneamente. Nel complesso, gli effetti indesiderati sono stati da lievi a moderati e considerati accettabili. Vi sono tuttavia alcune incertezze circa la possibilità che Ekterly causi un prolungamento del QT (attività elettrica anomala del cuore che ne influenza il ritmo). Nelle informazioni sul medicinale è stata pertanto inserita un'avvertenza per evidenziare questo rischio potenziale nelle persone con prolungamento QT preesistente o fattori di rischio noti.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Ekterly 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 Ekterly?

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

Altre informazioni su Ekterly

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

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