



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/454740/2024
EMA/H/C/004883

Esperoct (*turoctocog alfa pegilato*)

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

Cos'è Esperoct e per cosa si usa?

Esperoct è un medicinale usato per il trattamento e la prevenzione di emorragie in bambini, adolescenti e adulti affetti da emofilia A, un disturbo emorragico ereditario causato da una carenza del fattore VIII, una proteina che contribuisce alla coagulazione del sangue.

Esperoct contiene il principio attivo turoctocog alfa pegilato.

Come si usa Esperoct?

Esperoct può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere avviata da un medico esperto nel trattamento dell'emofilia.

Esperoct è somministrato con iniezione endovenosa. La dose, la frequenza e la durata della terapia dipendono dall'età del paziente, dal fatto che sia utilizzata per il trattamento o la prevenzione di emorragie, dalla gravità dell'emofilia, dall'entità e dalla sede delle emorragie nonché dalle condizioni di salute e dal peso del paziente. I pazienti o le persone che li assistono possono praticare l'iniezione di Esperoct autonomamente, a casa, dopo avere ricevuto le opportune istruzioni.

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

Come agisce Esperoct?

I pazienti affetti da emofilia A presentano una carenza del fattore VIII, una proteina necessaria per la normale coagulazione del sangue, e sono pertanto soggetti a emorragie. Il principio attivo di Esperoct, turoctocog alfa pegilato, agisce nell'organismo allo stesso modo del fattore umano VIII. Sostituendo il fattore VIII mancante, favorisce la coagulazione del sangue e garantisce un controllo temporaneo del disturbo emorragico.

Una parte del principio attivo è «pegilata», con l'aggiunta di una sostanza chimica denominata polietilenglicole (PEG), al fine di prolungare la permanenza del medicinale nell'organismo e quindi la sua azione.

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 Esperoct sono stati evidenziati negli studi?

Gli studi condotti hanno dimostrato che Esperoct è efficace nella prevenzione e nel trattamento degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia grave.

In uno studio su pazienti di età compresa tra 12 e 66 anni, 175 pazienti trattati con Esperoct ogni 4 giorni o due volte alla settimana a scopo di profilassi hanno avuto, in media, circa 4 episodi emorragici all'anno, raggiungendo l'obiettivo dello studio (meno di 8,5 episodi all'anno). Quando si sono verificati, gli episodi emorragici sono stati trattati efficacemente con una o due ulteriori iniezioni nel 94 % dei casi.

Altri dodici pazienti che hanno partecipato allo studio hanno ricevuto Esperoct non in profilassi bensì per il trattamento delle emorragie al bisogno. In questi pazienti, che hanno avuto in media circa 32 episodi emorragici all'anno, Esperoct è riuscito a fermare le emorragie nel 97 % dei casi dopo 1 o 2 iniezioni.

In un secondo studio su 68 bambini di età inferiore a 12 anni a cui erano stati precedentemente somministrati altri medicinali per il fattore VIII, Esperoct somministrato come trattamento preventivo ha portato a circa 2 episodi di sanguinamento all'anno nel corso della parte principale dello studio, durata 26 settimane. In un'estensione a lungo termine del secondo studio, i bambini hanno avuto una media stimata di meno di 1 episodio emorragico all'anno; tutte le emorragie sono state trattate efficacemente con dosi aggiuntive di Esperoct.

In un terzo studio principale, condotto su 81 bambini di età inferiore a 6 anni che non avevano precedentemente ricevuto medicinali per il fattore VIII, i bambini hanno avuto una media stimata di 1,8 episodi emorragici all'anno; il 93 % delle emorragie è stato trattato efficacemente con Esperoct.

Quali sono i rischi associati a Esperoct?

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

Con Esperoct possono verificarsi reazioni di ipersensibilità (allergiche) non comuni (che possono riguardare fino a 1 persona su 100), che in alcuni casi possono diventare gravi, tra cui tumefazione, bruciore e dolore pungente nel sito di iniezione, brividi, rossore, esantema pruriginoso, cefalea, orticaria, pressione arteriosa bassa, letargia, nausea e vomito, irrequietezza, battito cardiaco rapido, costrizione toracica, formicolio e respiro sibilante.

Molto raramente i pazienti possono sviluppare anticorpi contro le proteine di criceto contenute nel medicinale e avere reazioni allergiche. Esperoct non deve essere usato nei pazienti allergici alle proteine di criceto.

In seguito al trattamento con medicinali a base di fattore VIII, compreso Esperoct, è possibile che alcuni pazienti sviluppino inibitori (anticorpi) contro tale fattore, che potrebbero rendere inefficace il medicinale, con una conseguente perdita di controllo delle emorragie. In questi casi si raccomanda di rivolgersi a un centro specializzato nel trattamento dell'emofilia.

Nelle sperimentazioni cliniche, circa un terzo dei pazienti precedentemente non trattati che hanno iniziato la terapia con Esperoct, e che non hanno sviluppato inibitori contro il fattore VIII, ha sviluppato anticorpi contro la parte PEG del principio attivo. Ciò ha portato a una diminuzione dell'attività del fattore VIII, con conseguente perdita del controllo dell'emorragia in alcuni di questi pazienti. I livelli di attività del fattore VIII sono tornati a valori normali in tutti i pazienti che hanno continuato a ricevere il trattamento con Esperoct.

Perché Esperoct è autorizzato nell'UE?

Gli studi hanno riscontrato che Esperoct è efficace nella profilassi e nel trattamento delle emorragie in adulti e bambini con emofilia A. Poiché Esperoct è "pegilato", i pazienti che lo assumono possono anche ricevere iniezioni in numero minore o con frequenza inferiore rispetto a quelle necessarie con i prodotti FVIII convenzionali.

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Esperoct sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

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

La ditta che commercializza Esperoct condurrà uno studio per esaminare i potenziali effetti dell'accumulo di PEG nel plesso corioideo cerebrale e in altri tessuti e organi.

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

Altre informazioni su Esperoct

Esperoct ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 20 giugno 2019.

Ulteriori informazioni su Esperoct sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esperoct.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 10-2024.