



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/31708/2025
EMA/H/C/005449

Evkeeza (*evinacumab*)

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

Cos'è Evkeeza e per cosa si usa?

Evkeeza è un medicinale usato in associazione a una dieta a basso contenuto di grassi e ad altri medicinali per abbassare i livelli di colesterolo nel sangue. È usato negli adulti, negli adolescenti e nei bambini di età pari o superiore a 6 mesi affetti da ipercolesterolemia familiare omozigote, una malattia ereditaria che aumenta i livelli di colesterolo lipoproteico a bassa densità (colesterolo LDL o "colesterolo cattivo") nel sangue, che è un noto fattore di rischio di malattie cardiovascolari.

Evkeeza contiene il principio attivo evinacumab.

Come si usa Evkeeza?

Evkeeza può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata e monitorata da un medico esperto nel trattamento di disturbi lipidici (livelli anomali di grassi nel sangue). I pazienti devono assumere dosi stabili previste da altri trattamenti per la riduzione del colesterolo prima di poter iniziare il trattamento con Evkeeza.

Evkeeza è somministrato tramite un'infusione (flebo) in vena per 60 minuti ogni quattro settimane.

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

Come agisce Evkeeza?

Il principio attivo di Evkeeza, evinacumab, è un anticorpo monoclonale (un tipo di proteina) concepito per legarsi all'ANGPTL3, una proteina che blocca determinate lipasi (enzimi che degradano i grassi) nell'organismo. Dopo che evinacumab si è legato all'ANGPTL3, le lipasi possono tornare a funzionare, abbassando così i livelli di grassi nel sangue e riducendo il colesterolo.

Quali benefici di Evkeeza sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale ha evidenziato che Evkeeza è stato efficace nel ridurre i livelli di colesterolo LDL in adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni affetti da ipercolesterolemia familiare



omozigote. I pazienti esaminati nello studio hanno assunto Evkeeza o un placebo (un trattamento fittizio) contemporaneamente ad altre terapie per la riduzione del colesterolo.

Lo studio è stato condotto su 65 pazienti ai quali era stato somministrato Evkeeza o placebo una volta ogni quattro settimane. Dopo 24 settimane dall'inizio del trattamento i livelli medi di colesterolo LDL nel sangue dei pazienti trattati con Evkeeza erano diminuiti del 47 % circa, rispetto a un aumento di circa il 2 % nei pazienti ai quali era stato somministrato placebo. L'abbassamento dei livelli di colesterolo LDL con Evkeeza è stato mantenuto prolungando il trattamento per altre 24 settimane.

Un ulteriore studio principale ha esaminato l'efficacia di Evkeeza in 14 bambini di età compresa tra i 5 e gli 11 anni affetti da ipercolesterolemia familiare omozigote. In questo studio Evkeeza non è stato confrontato con un altro trattamento o con placebo. Dopo 24 settimane di trattamento Evkeeza ha abbassato del 48 % i livelli di colesterolo LDL.

Da uno studio condotto su 6 bambini di età compresa tra i 5 e gli 11 anni è emerso che Evkeeza agisce allo stesso modo nell'organismo dei bambini più piccoli, degli adolescenti e degli adulti.

I benefici di Evkeeza nei bambini di età compresa tra 6 mesi e meno di 5 anni sono stati determinati a seguito di un'analisi dei dati relativi al comportamento del medicinale nell'organismo. Parte di tali dati riguardava bambini più grandi e adulti nonché ipotesi sullo sviluppo dei bambini piccoli e gli effetti dell'ipercolesterolemia familiare omozigote. Dai risultati è emerso che, sebbene i bambini di questa fascia di età presentino livelli ematici più bassi di Evkeeza alle dosi raccomandate, l'efficacia del medicinale nel trattamento dell'ipercolesterolemia familiare omozigote è paragonabile a quella osservata negli adulti e nei bambini più grandi. Tali risultati sono stati corroborati dai dati relativi a cinque bambini che hanno iniziato il trattamento con Evkeeza prima dei 5 anni nell'ambito di un programma di uso compassionevole.

Quali sono i rischi associati a Evkeeza?

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

L'effetto indesiderato più comune di Evkeeza (che può riguardare più di 1 persona su 10) è l'infiammazione del naso e della gola. Altri effetti indesiderati (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono malattia simil-influenzale, capogiro, dolore dorsale e nausea. L'effetto indesiderato grave più frequente (che può riguardare fino a 1 persona su 100) è l'anafilassi (un'improvvisa reazione allergica grave).

Perché Evkeeza è autorizzato nell'UE?

Due studi hanno dimostrato che l'aggiunta di Evkeeza ad altri trattamenti per l'abbassamento del colesterolo ha ridotto efficacemente i livelli di colesterolo LDL nel sangue degli adulti e dei bambini a partire dai 12 anni di età affetti da ipercolesterolemia familiare omozigotica. Un terzo studio condotto su bambini di età compresa tra i 5 e gli 11 anni ha evidenziato risultati comparabili. L'Agenzia ha inoltre ritenuto che l'efficacia di Evkeeza nei bambini di età compresa tra 6 mesi e meno di 5 anni sia paragonabile a quella dei bambini più grandi e degli adulti. Tuttavia, i benefici a lungo termine del trattamento per il sistema cardiaco e circolatorio devono ancora essere studiati. Gli effetti indesiderati di Evkeeza erano accettabili e la maggior parte dei pazienti ha potuto essere sottoposta a un trattamento prolungato (di almeno un anno) senza necessità di interromperlo.

Sebbene permangano incertezze, l'Agenzia europea per i medicinali ha pertanto deciso che i benefici di Evkeeza sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Evkeeza è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete sul medicinale a causa della rarità della malattia. La ditta è tenuta a fornire ulteriori dati in merito a Evkeeza riguardanti la sicurezza a lungo termine del medicinale, gli esiti di eventuali gravidanze e l'effetto del trattamento sugli accumuli di grassi nelle arterie (aterosclerosi). La ditta acquisirà questi dati da un registro (una raccolta di informazioni) dei pazienti affetti da ipercolesterolemia familiare omozigote che viene regolarmente aggiornato. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

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

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

Altre informazioni su Evkeeza

Evkeeza ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 17 giugno 2021.

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 12-2024.