



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/950876/2022
EMA/H/C/004406

Hemlibra (*emicizumab*)

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

Cos'è Hemlibra e per cosa si usa?

Hemlibra è un medicinale usato per la prevenzione o la riduzione del sanguinamento in pazienti affetti da emofilia A (un disturbo emorragico ereditario causato dalla mancanza di fattore VIII).

Il medicinale viene utilizzato:

- nei pazienti che hanno sviluppato inibitori del fattore VIII, ossia anticorpi presenti nel sangue che agiscono contro i medicinali contenenti il fattore VIII e ne impediscono il corretto funzionamento;
- nei pazienti senza inibitori del fattore VIII qualora la loro emofilia A sia grave o moderata (con fenotipo emorragico grave).

Hemlibra contiene il principio attivo emicizumab.

Come si usa Hemlibra?

Hemlibra può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata da un medico esperto nel trattamento dell'emofilia o dei disturbi emorragici.

Il medicinale è disponibile come soluzione iniettabile sotto la cute dell'addome, della coscia o della parte superiore del braccio. I pazienti, o le persone che li assistono, possono praticare l'iniezione di Hemlibra a casa dopo aver ricevuto opportune istruzioni. L'iniezione nel braccio deve essere eseguita esclusivamente da una persona che si prende cura del paziente o da un operatore sanitario.

Il giorno precedente l'inizio del trattamento con Hemlibra i pazienti devono interrompere il trattamento con agenti bypassanti (medicinali usati per prevenire il sanguinamento in pazienti che presentano inibitori del fattore VIII, come il complesso protrombinico concentrato attivato o il fattore VIIa ricombinante).

La dose di Hemlibra dipende dal peso corporeo del paziente. La dose raccomandata è di 3 mg per kg di peso corporeo una volta alla settimana per le prime 4 settimane. I pazienti possono quindi continuare

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



con 1,5 mg/kg una volta alla settimana, 3 mg/kg ogni 2 settimane, o 6 mg/kg ogni 4 settimane. Hemlibra è indicato per l'uso a lungo termine.

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

Come agisce Hemlibra?

I pazienti affetti da emofilia A sono carenti del fattore VIII, una sostanza presente nell'organismo che contribuisce alla coagulazione del sangue. Il principio attivo di Hemlibra, emicizumab, è un anticorpo monoclonale progettato per svolgere l'azione che è normalmente quella del fattore VIII: riunire due fattori di coagulazione (IXa e X) come parte di una catena di reazioni necessarie alla coagulazione del sangue.

Avendo una struttura diversa rispetto al fattore VIII, emicizumab non è interessato dall'azione degli inibitori di tale fattore. Tuttavia, lo sviluppo di anticorpi anti-emicizumab neutralizzanti con conseguente perdita di efficacia è stato raramente osservato durante gli studi clinici.

Quali benefici di Hemlibra sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio condotto su 109 pazienti ha evidenziato che Hemlibra è efficace nel prevenire il sanguinamento in quelli affetti da emofilia A di qualsiasi gravità e che hanno inibitori del fattore VIII: i pazienti ai quali è stato somministrato Hemlibra come trattamento preventivo hanno avuto meno sanguinamenti che hanno necessitato un trattamento (3 all'anno) rispetto a quelli che non sono stati sottoposti ad alcun trattamento preventivo (23 all'anno).

Lo studio è stato condotto anche su pazienti già in trattamento preventivo con medicinali noti come agenti bypassanti. Quando questi pazienti sono passati a Hemlibra, il numero di sanguinamenti trattati per paziente è diminuito da circa 16 all'anno prima del passaggio a circa 3 sanguinamenti all'anno dopo il passaggio. Inoltre, i pazienti trattati con Hemlibra presentavano migliori punteggi relativi alla qualità della vita rispetto a quelli non trattati con il medicinale.

Uno studio condotto su 152 pazienti ha evidenziato che Hemlibra è efficace anche nel prevenire il sanguinamento nei pazienti affetti da emofilia A grave senza inibitori del fattore VIII: quelli ai quali è stato somministrato Hemlibra come trattamento preventivo hanno avuto, in un anno, circa un sanguinamento che ha necessitato un trattamento, rispetto ai 38 all'anno nei pazienti che non sono stati sottoposti ad alcun trattamento preventivo.

Uno studio condotto su 51 pazienti ha dimostrato che Hemlibra è efficace nel prevenire il sanguinamento in pazienti con emofilia A moderata senza inibitori del fattore VIII, che necessitavano di un trattamento preventivo a causa del loro grave fenotipo emorragico. I pazienti a cui è stato somministrato Hemlibra hanno avuto, in media, circa un sanguinamento all'anno che ha richiesto un trattamento.

Quali sono i rischi associati a Hemlibra?

Gli effetti indesiderati più comuni di Hemlibra (che possono riguardare 1 o più persone su 10) sono prurito o dolore in corrispondenza del punto di iniezione, dolore articolare e cefalea.

Gli effetti indesiderati più gravi, che possono riguardare fino a 1 persona su 100, sono microangiopatia trombotica (coaguli in piccoli vasi sanguigni) e trombosi (formazione di coaguli di sangue nei vasi), tra cui trombosi di seno cavernoso (coagulazione alla base del cervello) e trombosi di vena superficiale (coagulazione nelle vene sotto la pelle, di solito nelle braccia o nelle gambe) con danno cutaneo.

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

Perché Hemlibra è autorizzato nell'UE?

Solo alcuni medicinali, denominati agenti bypassanti, sono indicati nei pazienti affetti da emofilia A che hanno sviluppato inibitori del fattore VIII. Hemlibra riduce gli episodi di sanguinamento in questi pazienti e ne migliora la qualità di vita. Hemlibra riduce inoltre il sanguinamento in pazienti affetti da emofilia A moderata o grave senza inibitori del fattore VIII.

Gli effetti indesiderati di Hemlibra sono tollerabili e le istruzioni su come gestire i rischi di effetti indesiderati gravi sono contenute nelle informazioni relative alla prescrizione e nei materiali informativi.

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Hemlibra 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 Hemlibra?

La ditta che commercializza Hemlibra pubblicherà materiali informativi per operatori sanitari, pazienti, persone che li assistono e operatori di laboratorio in merito agli effetti indesiderati della coagulazione anormale, al rischio di assunzione di Hemlibra in concomitanza con agenti bypassanti e alla modalità di esecuzione di esami di laboratorio per questi pazienti. I materiali includeranno informazioni sul prodotto, guide e una scheda di allerta per il paziente.

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

Altre informazioni su Hemlibra

Hemlibra ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 23 febbraio 2018.

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 02-2023.