



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100087/2023
EMA/H/C/005896

Hyftor (*sirolimus*)

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

Cos'è Hyftor e per cosa si usa?

Hyftor è un medicinale usato per il trattamento di tumori benigni (non cancerogeni) della cute del viso (angiofibroma facciale) causati da una malattia genetica denominata sclerosi tuberosa complessa. È indicato negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a sei anni.

La sclerosi tuberosa complessa è rara e Hyftor è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 23 agosto 2017. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Hyftor è un "medicinale ibrido". Questo significa che è simile a un "medicinale di riferimento" che contiene lo stesso principio attivo; Hyftor tuttavia viene somministrato in un modo diverso: mentre il medicinale di riferimento, Rapamune, è somministrato per bocca (in compresse o come liquido da bere), Hyftor è disponibile sotto forma di gel da applicare sulla cute.

Hyftor contiene il principio attivo sirolimus.

Come si usa Hyftor?

Hyftor può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica ed è disponibile sotto forma di gel da applicare due volte al giorno nelle aree del viso interessate dall'angiofibroma. In assenza di effetti il trattamento deve essere interrotto dopo 12 settimane.

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

Come agisce Hyftor?

Le modalità di azione di Hyftor nell'angiofibroma facciale da sclerosi tuberosa complessa non sono del tutto note. Il principio attivo di Hyftor, sirolimus, agisce bloccando un enzima denominato "recettore della rapamicina nei mammiferi" (mTOR). Questo enzima contribuisce al controllo della divisione cellulare ed esercita un'attività accresciuta nelle cellule tumorali dei pazienti affetti da sclerosi tuberosa complessa. Bloccando mTOR sirolimus blocca la divisione delle cellule tumorali; tale azione dovrebbe ridurre la crescita dei tumori della cute associati alla malattia.



Quali benefici di Hyftor sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale condotto su adulti e bambini di età pari o superiore a sei anni affetti da angiofibroma facciale da sclerosi tuberosa complessa ha dimostrato l'efficacia di Hyftor nel combattere la malattia. Dopo 12 settimane le dimensioni e l'arrossamento dell'angiofibroma facciale si sono attenuati (anche notevolmente) in 18 pazienti su 30 (60 %) che hanno usato Hyftor rispetto a nessuno dei 32 pazienti (0 %) che hanno usato un placebo (trattamento fittizio) in gel.

Quali sono i rischi associati a Hyftor?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Hyftor (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono irritazione nel sito di applicazione, cute secca, acne e prurito.

Perché Hyftor è autorizzato nell'UE?

È stato dimostrato che Hyftor riduce le dimensioni e l'arrossamento dell'angiofibroma facciale da sclerosi tuberosa complessa negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a sei anni. Tale effetto è ritenuto un beneficio rilevante. Il profilo di sicurezza del medicinale è considerato accettabile. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Hyftor 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 Hyftor?

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

Altre informazioni su Hyftor

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