



EMA/543934/2024
EMEA/H/C/002464

Jakavi (*ruxolitinib*)

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

Cos'è Jakavi e per cosa si usa?

Jakavi è un medicinale usato per il trattamento delle seguenti affezioni:

- splenomegalia (ingrossamento della milza) o altri sintomi correlati come febbre, sudorazione notturna, dolore osseo e perdita di peso negli adulti affetti da mielofibrosi, una malattia in cui il midollo osseo diventa molto denso e rigido e produce cellule ematiche anomale e immature;
- policitemia vera in pazienti adulti per i quali il medicinale idrossicarbamide (noto anche come idrossiurea) non è efficace o causa effetti indesiderati inaccettabili. La policitemia vera provoca una produzione eccessiva di globuli rossi, che può aumentare la viscosità del sangue con possibile formazione di coaguli, riducendone così l'afflusso agli organi;
- malattia acuta del trapianto contro l'ospite (GvHD, quando le cellule donatrici attaccano l'organismo poco dopo un trapianto) in adulti e bambini di età pari o superiore a 28 giorni per i quali i corticosteroidi o altre terapie sistemiche (trattamenti somministrati per via orale o iniezione) non sono stati sufficientemente efficaci;
- malattia del trapianto contro l'ospite cronica (che di solito si sviluppa più tardi rispetto alla GvHD acuta, entro diverse settimane fino a mesi dopo un trapianto) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 6 mesi per i quali i corticosteroidi o altre terapie sistemiche non si sono rivelati sufficientemente efficaci.

Jakavi contiene il principio attivo ruxolitinib.

Come si usa Jakavi?

Jakavi può essere ottenuto solo con prescrizione medica e il trattamento deve essere avviato solo da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti da medicinali antitumorali.

Jakavi è disponibile in compresse e in soluzione da assumere per via orale due volte al giorno. La dose raccomandata dipende dall'affezione.

In caso di comparsa di determinati effetti indesiderati è necessario ridurre la dose o interrompere il trattamento.

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



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

Come agisce Jakavi?

Il principio attivo di Jakavi (ruxolitinib) agisce bloccando un gruppo di enzimi noti come Janus chinasi (JAK) che contribuiscono alla produzione e alla crescita delle cellule ematiche. Nella mielofibrosi e nella policitemia vera vi è un'eccessiva attività degli JAK, con conseguente produzione anomala di cellule ematiche. Queste cellule del sangue possono spostarsi in organi, tra cui la milza, facendo sì che gli organi si ingrossino. Gli JAK sono anche coinvolti nello sviluppo e nell'attivazione delle cellule del sistema immunitario (le naturali difese dell'organismo) che svolgono un ruolo nella GvHD. Bloccando le JAK, ruxolitinib contribuisce a ridurre l'infiammazione, riducendo in tal modo i sintomi della GvHD acuta e cronica.

Quali benefici di Jakavi sono stati evidenziati negli studi?

Mielofibrosi

Jakavi è risultato più efficace del placebo (trattamento fittizio) e del miglior trattamento disponibile per ridurre le dimensioni della milza in due studi principali che hanno coinvolto 528 pazienti adulti. Nel primo studio l'obiettivo in termini di riduzione delle dimensioni della milza (- 35 % dopo 6 mesi) è stato raggiunto nel 42 % dei pazienti trattati con Jakavi (65 su 155) rispetto a meno dell'1 % dei pazienti ai quali era stato somministrato placebo (1 su 153). Nel secondo studio l'obiettivo in termini di riduzione delle dimensioni della milza (- 35 % dopo 1 anno) è stato raggiunto nel 29 % dei pazienti trattati con Jakavi (41 su 144) rispetto a nessuno dei 72 pazienti sottoposti al miglior trattamento disponibile (sotto forma di medicinali antitumorali, ormoni e immunosoppressori).

Policitemia vera

Jakavi ha migliorato la condizione dei pazienti in uno studio principale effettuato su 222 pazienti adulti per i quali idrossicarbamide non era efficace o aveva causato effetti indesiderati inaccettabili. Era considerato un miglioramento il fatto di dover ricorrere a meno di una flebotomia (intesa a rimuovere l'eccesso di sangue dall'organismo) con una riduzione delle dimensioni della milza pari ad almeno il 35 %. In tale studio, dopo 8 mesi di trattamento è migliorato il 21 % (23 su 110) dei pazienti ai quali era stato somministrato Jakavi, rispetto all'1 % (1 su 112) dei pazienti sottoposti al miglior trattamento disponibile.

Malattia del trapianto contro l'ospite

Jakavi si è dimostrato efficace nel ridurre i sintomi della malattia del trapianto contro l'ospite acuta e cronica negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni in 2 studi principali.

Il primo studio ha coinvolto 309 adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni, con GvHD acuta dovuta a un trapianto allogenico di cellule staminali (utilizzando cellule staminali di un donatore). In questi pazienti la terapia corticosteroidea per la GvHD acuta non è stata efficace. Lo studio ha esaminato la percentuale di pazienti che presentavano sintomi attenuati (risposta parziale) o nessun segno di sintomi (risposta completa) dopo 4 settimane di terapia con Jakavi o con il miglior trattamento disponibile per la loro malattia. I risultati hanno mostrato che il 62 % dei pazienti (96 su 154) trattati con Jakavi ha manifestato una risposta completa o parziale, rispetto al 39 % di quelli (61 su 155) sottoposti a un'altra terapia.

Il secondo studio ha coinvolto 329 adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni, con GvHD cronica dovuta a un trapianto allogenico di cellule staminali. La terapia corticosteroidea per la GvHD

cronica non è stata efficace in questi pazienti. Dopo 24 settimane di trattamento, il 50 % dei pazienti trattati con Jakavi (82 su 165) ha manifestato una risposta completa o parziale rispetto al 26 % (42 su 164) di quelli sottoposti al miglior trattamento disponibile per la loro malattia.

I dati sul comportamento di Jakavi nell'organismo hanno dimostrato che, quando il medicinale viene somministrato a bambini di età inferiore ai 12 anni alle dosi raccomandate per il trattamento della GvHD acuta e cronica, i suoi livelli nel sangue sono simili a quelli osservati negli adulti.

Qual è il rischio associato a Jakavi?

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

Nella mielofibrosi gli effetti indesiderati più comuni di Jakavi (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono trombocitopenia (bassa conta delle piastrine), anemia (bassa conta dei globuli rossi), neutropenia (bassi livelli di neutrofili), sanguinamento, lividura, ipertrigliceridemia (alti livelli di grassi nel sangue), capogiro e aumento dei livelli di enzimi epatici.

Nella policitemia vera gli effetti indesiderati più comuni di Jakavi (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono trombocitopenia, anemia, aumento ponderale, cefalea, capogiro, ipercolesterolemia (elevati livelli di colesterolo nel sangue) e aumento dei livelli di enzimi epatici.

Nella GvHD acuta, gli effetti indesiderati più comuni di Jakavi negli adulti e negli adolescenti (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono trombocitopenia, anemia, neutropenia e aumento dei livelli degli enzimi epatici alanina aminotransferasi e aspartato aminotransferasi. Gli effetti indesiderati più comuni di Jakavi negli adolescenti e nei bambini (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono trombocitopenia, anemia, neutropenia, ipercolesterolemia e aumento dei livelli di alanina aminotransferasi.

Nella GvHD cronica, gli effetti indesiderati più comuni di Jakavi in adulti e adolescenti (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono anemia, ipercolesterolemia e aumento dei livelli di aspartato aminotransferasi. Gli effetti indesiderati più comuni nei bambini e negli adolescenti (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono neutropenia, ipercolesterolemia e aumento dei livelli di alanina aminotransferasi.

Jakavi non deve essere usato nelle donne in gravidanza o in allattamento.

Perché Jakavi è autorizzato nell'UE?

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

Nella mielofibrosi la riduzione dei sintomi e delle dimensioni della milza nei pazienti che assumono Jakavi è clinicamente importante e comporta un miglioramento della qualità di vita. Nella policitemia vera l'Agenzia ha ritenuto che Jakavi comportasse benefici per i pazienti quando il trattamento con idrossicarbamide non è efficace o causa effetti indesiderati inaccettabili. Nel trattamento della malattia del trapianto contro l'ospite è stato dimostrato che Jakavi riduce i sintomi negli adulti e negli adolescenti a partire dai 12 anni di età. Sulla base del meccanismo d'azione del medicinale, si prevede che l'efficacia e il profilo di sicurezza del medicinale per il trattamento della GvHD acuta e cronica nei bambini più piccoli siano uguali a quelli degli adulti.

In termini di sicurezza, l'Agenzia ha ritenuto che gli effetti indesiderati di Jakavi possano essere gestiti in modo adeguato.

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

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

Altre informazioni su Jakavi

Jakavi ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 23 agosto 2012.

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 12-2024.